RAPPORT
du
COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS

du Conseil consultatif des sciences
de Santé Canada

Février 2000

RAPPORT DU CONSEIL CONSULTATIF DES SCIENCES
COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS

PRÉFACE

Le Conseil consultatif des sciences a été établi en septembre 1997 par le ministre de la Santé, l'honorable Allan Rock. Sa raison d'être est de conseiller le ministre sur les questions scientifiques qui touchent la Direction générale de la protection de la santé (DGPS) - et ainsi la santé de tous les Canadiens et Canadiennes - et d'aider à rehausser la confiance du public dans le travail de la DGPS. Une partie des responsabilités de la DGPS comprend l'examen et l'approbation, ou le rejet, des demandes des fabricants de médicaments de distribuer de nouveaux produits thérapeutiques. Le processus d'examen des médicaments, qui vise à s'assurer que les nouveaux médicaments sont sûrs et efficaces, a été critiqué comme étant, par exemple, trop lent et inefficace.

En conséquence, un certain nombre de comités et de groupes consultatifs ont été établis pour examiner le processus en détail; certains rapports sont déjà parus et des recommandations visant l'amélioration du processus ont .été formulées. Le Conseil consultatif des sciences a voulu s'informer sur le processus d'examen des médicaments et a donc demandé à certains de ses membres d'examiner les rapports et le processus lui-même et de faire rapport. Le rapport du comité du Conseil consultatif des sciences sur le processus d'examen des médicaments suit et je l'ai transmis au ministre pour qu'il l'examine.

Tous mes remerciements aux membres du comité pour ce rapport et à ceux qui les ont aidé dans leur travail.

Roberta Bondar
O.C., O.Ont., M.D., Ph.D., F.R.C.P.(C.), FRSC
Présidente du Conseil consultatif des sciences

RAPPORT DU CONSEIL CONSULTATIF DES SCIENCES
COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS

TABLE DES MATIÈRES

1. But ..... p. 4

2. Contexte ..... p. 4

3. Le défi ..... p. 4

4. Méthodologie ..... p. 5

5. Observations ..... p. 6

6. Discussion ..... p. 8
- 6.1 Opportunité
- 6.2 Transparence
- 6.3 Efficacité et efficience
- 6.4 Médicaments orphelins

7. Ressources ..... p. 14

8. Recommandations ..... p. 17

9. Remerciements ..... p. 17

10. Annexes
- **Annexe A - Objectifs de l'étude du processus d'examen des médicaments**
- **Annexe B - Sommaires des résultats du questionnaire**
- **Annexe C - Rapports des consultations avec la FDA, la MCA et l'AEEM**
- **Annexe D - Rapport provisoire**
- **Annexe E - Bibliographie sélectionnée**
- **Annexe F - Notes sur le droit canadien et le PEM**
- **Annexe G - Rapport de la réunion avec les intéressés**
- **Annexe H - Législation de l'UE sur les produits orphelins**
- **Annexe I - Rapport de l'atelier de consultation**

11. Glossaire

RAPPORT DU CONSEIL CONSULTATIF DES SCIENCES
COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS

1. But

1.1 Le but du présent document est de rendre compte au Conseil consultatif des sciences (CCS) des activités du Comité du processus d'examen des médicaments et de proposer des recommandations pour intervention.

2. Contexte

2.1 Le Comité a été formé par consensus du Conseil consultatif des sciences à sa réunion de mars 1999 et il était présidé par Doug Elliott. Les membres étaient Russ Graham, Jean Jones, Leslie Millin et Karen Semchuk, ainsi que Bernard Schwetz à titre de conseiller. Le docteur Semchuk et le docteur Schwetz ont dû se retirer à mi-chemin du travail du Comité à cause d'autres obligations professionnelles.

2.2 Dans le compte rendu de la réunion du CCS de mars 1999, on peut lire que le Comité devait «procéder à une "mini-enquête" sur le processus de la DGPS pour évaluer si les travaux du PEM sont crédibles et bien informés, et de favoriser une meilleure gestion, le cas échéant». Un énoncé complet des objectifs de notre étude figure à l'annexe A.

3. Le défi

3.1 Le Conseil consultatif des sciences a été établi en partie devant le manque de confiance du public envers le travail de la Direction générale de la protection de la santé (DGPS). En partie, ce manque de confiance vient de la perception que le processus par lequel les nouveaux médicaments sont approuvés est faible. Les critiques du processus d'examen des médicaments comprennent certains membres du personnel professionnel de la DGPS ainsi que des défenseurs de divers groupes d'intérêts, des représentants de l'industrie, des cadres élus ou nommés, et des membres du public (que nous appelons, tous ou certains, les «intéressés»).

3.2 Les critiques publiques du processus d'examen des médicaments, particulièrement de sa transparence, de son opportunité, de son efficience et de son efficacité, reflètent la complexité du processus d'examen des médicaments et les attentes différentes des divers intéressés, notamment le grand public. Dans bien des cas, ces affirmations se contredisent. Elles ne peuvent être toutes exactes, et pourraient bien être toutes fausses. Nous les incluons simplement pour montrer la diversité des opinions concernant le processus d'évaluation des médicaments, sans exprimer d'opinion au sujet de leur validité ou de leur absence de validité, à l'exception de ce qui est établi dans le présent rapport.

3.3 Il faudrait remarquer qu'il y a eu manifestement une amélioration dans le délai d'exécution, que l'on a entrepris d'autres étapes constructives dans le domaine de la contribution des consommateurs et que les relations avec le bureau homologue de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis sont de toute évidence productives, collégiales et mutuellement respectueuses.

4.4 Nous voulons déclarer catégoriquement que le Comité n'a pas de preuve nous convaincant de l'approbation de médicaments dangereux.

4. Méthodologie

4.1 Nous avons abordé notre travail de diverses façons :

- ★ Création, envoi et examen des questionnaires aux intéressés et au personnel de la DGPS;
- ★ Consultations avec Dann Michols, le chef du Programme des produits thérapeutiques (PPT) de la DGPS, le groupe qui entreprend les examens des médicaments, et avec Mario Simard, avocat général, Renouveau législatif, Transition, DGPS, qui, respectivement, ont fourni l'information sur les changements au PPT et sur l'activité de renouveau législatif en cours à Santé Canada;
- ★ Consultations avec des cadres de la *Food and Drug Administration (FDA)* des États-Unis, la *Medicines Control Agency (MCA)* du Royaume-Uni et l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments (AEEM);
- ★ Contacts le Comité consultatif de gestion du PPT et avec l'atelier de consultation sur le processus d'examen des médicaments du PPT;

★ Discussions directes avec des intéressés informés, notamment une réunion avec les principaux informateurs; et

★ Recherche au bureau.

4.2 Les sommaires des résultats du questionnaire figurent à l'annexe B. Ils constituent la base de bon nombre de nos observations. Les rapports des consultations avec les cadres des États-Unis, du Royaume-Uni et de l'Union européenne (UE) figurent à l'annexe C, et ils nous ont également aidé dans notre travail. Nous avons déposé un rapport provisoire à mi-chemin de notre travail, auquel les membres du CCS ont répondu et qui figure à l'annexe D. Nous avons ajouté à l'annexe E une bibliographie sélectionnée d'études et de rapports antérieurs sur cette question. Un bref sommaire du droit tel qu'il s'applique aux questions de transparence figure à l'annexe F. Le rapport de la réunion des 3 et 4 novembre 1999 avec les principaux intéressés figure à l'annexe G. Enfin, nous avons ajouté à l'annexe H l'ébauche de la législation de l'UE sur les produits orphelins, et à l'annexe I le rapport de l'Atelier de consultation.

5. Observations

5.1 Notre questionnaire nous a permis d'apprendre ce qui suit :

★ La plupart des répondants croient que le processus doit s'améliorer quant à l'opportunité, l'efficience et l'efficacité et de nombreux défauts de transparence; toutefois personne n'a dit au comité que des médicaments dangereux sont approuvés et le comité n'a obtenu aucune preuve en ce sens;

★ Un certain nombre de personnes interrogées ont critiqué la gestion de la DGPS et nous attirons l'attention des gestionnaires sur ces critiques qui dépassent la portée du présent rapport, lesquelles sont résumées à l'annexe B;

★ Le soutien de l'harmonisation internationale est répandu, à condition qu'elle signifie l'harmonisation avec les meilleures normes internationales et à condition que la responsabilité de la santé et de la sécurité des citoyens canadiens ne soit pas compromise;

★ Il n'existe aucun consensus sur la politique de recouvrement des coûts, sauf peut-être que dans sa manifestation actuelle, il ne fonctionne pas bien;

★ La surveillance postérieure à l'approbation ou à la mise en marché (les deux termes sont utilisés) ou plutôt le manque de surveillance est considéré comme un important point faible.

5.2 Nos consultations nous ont permis d'apprendre ce qui suit :

★ En général, les résultats du questionnaire ont été confirmés;

★ De nombreux intéressés croient que le temps d'un examen plus poussé est passé, qu'il y a un vaste consensus même si les intéressés ont des points de vue très différents (voir le rapport de l'Atelier de consultation à l'annexe I, pour des exemples), et que le temps de l'action est largement échu;

★ Les intéressés conviennent que le processus de renouveau législatif offre au Ministère une possibilité rare et valable de transformer à Santé Canada le processus d'examen des médicaments au besoin;

★ La portée du changement est dans certains cas limitée par la législation canadienne en vigueur, qui peut être modifiée, et par les obligations des traités internationaux, qui ne peuvent pas l'être.

5.3 Les autres instances nous ont appris ce qui suit :

★ Les normes de transparence varient, mais chaque instance envisage des améliorations;

★ Aucune instance ne semble satisfaite de l'efficacité de son intervention quant à la surveillance postérieure à la mise en marché (ou à l'approbation);

★ L'harmonisation internationale est généralement considérée souhaitable;

★ Il semble y avoir un soutien croissant à la valeur des programmes particuliers en ce qui a trait aux problèmes des produits orphelins;

★ Des frais aux usagers sont largement imposés de diverses façons, mais ils ont des conséquences organisationnelles (l'expression «recouvrement des coûts» semble uniquement canadienne et a un sens quelque peu différent mais semblable);

★ Les normes d'opportunité semblent grandement varier, mais la variation diminue si l'on tient compte de la base de calcul.

6. Discussion

Dans notre rapport provisoire (annexe D), nous avons indiqué les principes essentiels, ***Opportunité, Transparence, Efficience*** et ***Efficacité,*** dont il est question ci-après.

6.1 Opportunité

6.1.1 L'opportunité est dans une grande mesure régie par la disponibilité des ressources financières et autres, comme nous le mentionnons à la section 7. Nous constatons que beaucoup de progrès ont été réalisés ces dernières années pour améliorer l'opportunité de l'examen des demandes - le principal problème semble résider dans l'accumulation des demandes qui doivent attendre sans être ouvertes jusqu'à ce que les gestionnaires et les examinateurs aient le temps de les étudier. Ce temps est désigné par le PPT comme «temps d'indisponibilité», ou «arrérage» par d'autres. Il semble être trop long, au moins dans certains cas - jusqu'à plus de 150 jours pour une demande accélérée - et le facteur principal est nettement le manque de ressources.

6.1.2 Selon nous, une amélioration accrue est possible, par exemple, par l'échange des conclusions de l'examen - non pas l'acceptation automatique des résultats réglementaires - avec des organismes comparables dans d'autres instances. Nous avons noté les efforts de Santé Canada vers l'harmonisation internationale, mais nous croyons que l'échange d'information est valable comme solution pratique immédiate pour établir des normes internationales, proposition à long terme. Une autre possibilité est de partager les responsabilités avec des partenaires internationaux en convenant, par exemple, de miser sur les forces de la recherche du Canada dans un ou deux domaines particuliers en échange de l'accès aux conclusions d'autres instances d'une rigueur scientifique comparable dans d'autres domaines désignés.

6.1.3 Si le problème de «l'arrérage» est réglé de façon satisfaisante, nous croyons que des nouvelles demandes peuvent être traitées dans un délai qui supportera la comparaison avec les autres pays industrialisés. De plus, son élimination rehaussera la confiance du public en Santé Canada. Des stratégies comme la présentation d'un avis de conformité conditionnel pour toute demande reçue depuis une durée spécifique ont été approuvées par certaines instances comparables et elles peuvent être soutenues par une information identique à celle fournie à ces instances, mais un plan spécifique assorti des ressources suffisantes est essentiel. L'objectif de réduction de cette «indisponibilité» pourrait être de 18 mois. Nous

ajoutons avec insistance qu'il ne doit pas y avoir de raccourci dans l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité.

6.1.4 Un aspect particulier de l'amélioration est le processus par lequel Santé Canada traite les demandes pour des produits nettement nécessaires de façon urgente pour traiter des états de santé graves et parfois mortels. En principe, ces produits sont désignés pour un examen «accéléré» et peuvent obtenir un avis de conformité conditionnel. Le Comité a remarqué que ce processus ne s'harmonise pas avec le système équivalent de la FDA, malgré la possibilité manifeste d'économiser du temps. Nous pouvons seulement conclure que la distinction actuelle repose sur une réduction de la demande pour les ressources.

6.1.5 D'autres améliorations concernent les procédures. L'AEEM signale un certain succès avec des modèles de demande standard lisibles électroniquement. Divers intéressés ont souligné que certaines étapes du processus d'examen pourraient se dérouler parallèlement plutôt que l'une après l'autre puisqu'elles n'ont aucun impact particulier l'une sur l'autre. Une autre mesure, proposée dans une de nos consultations, est que lorsqu'un demandeur ne présente pas dans un délai convenu les correctifs à une demande incomplète ou défaillante, cette demande devrait être supprimée de la liste jusqu'à ce qu'elle soit complète ou corrigée, et ensuite acceptée uniquement à la fin de la liste. Les personnes qui peuvent le mieux déterminer les améliorations aux procédures sont celles qui travaillent quotidiennement avec les procédures, et un programme actif pour solliciter et récompenser les suggestions utiles des examinateurs rehaussera le moral et offrira des avantages immédiats en fonction d'une solide expérience professionnelle. Nous comprenons que plusieurs de ces améliorations ont été mises en œuvre ou font l'objet d'un examen poussé par le PPT.

6.1.6 Nous avons considéré les délais législatifs de l'examen. Après examen du pour et du contre, cela semble une option faible, bien que nous convenions que des objectifs généraux soient souhaitables, simplement parce que les demandes sont très variables. Alors qu'une demande est soutenue par deux volumes de données, une autre peut en présenter soixante. La multiplication du nombre d'examinateurs en proportion ne suffira pas à elle seule - les complexités sont simplement trop grandes et ce n'est que le temps suffisant qui offrira un examen acceptable. Les délais peuvent être réduits par un système selon lequel, après que l'état complet de la demande a été confirmé, une date visée pour le processus d'examen pourrait être fixée, selon les caractéristiques de chaque demande.

6.1.7 Il y a des modèles qui peuvent être examinés pour établir des moyens de régler le problème de l'arrérage administratif, par exemple les tribunaux. Des études ou des projets pilotes visant à déterminer la possibilité d'appliquer de tels modèles peuvent être souhaitables.

6.1.8 Nous pensons aussi que les conclusions de l'atelier consultatif sur le processus d'évaluation des médicaments du PPT mérite d'être prises en compte. Le CCS n'a pas examiné ces conclusions en détail. Le Comité les a examinées; cependant, nous n'avons pas participé à la totalité de ce processus. Même si nous faisons quelques réserves au sujet de certains details, nous sommes d'accord avec l'esprit de ces recommandations.

6.2 Transparence

6.2.1 De notre point de vue et de celui de nombreux intéressés, le processus d'examen des médicaments actuel est inutilement opaque. Santé Canada persiste à maintenir un niveau de confidentialité qui est incompatible avec les attentes du public et qui contribue à son cynisme sur l'intégrité du processus.

6.2.2 On dit que deux conditions rendent un degré de confidentialité élevé nécessaire. L'une est que les lois nationales et internationales l'exigent; l'autre est que sans ce degré de confidentialité, les fabricants ne choisiront pas d'introduire de nouveaux produits sur le marché canadien, et les citoyens canadiens ayant besoin de ces produits en souffriront en conséquence. Quant à la première condition, nous nous référons à l'annexe F. Elle présente la législation pertinente et conclut que des pratiques beaucoup plus transparentes sont tout à fait possible dans le cadre de la législation en vigueur; en outre, étant donné l'initiative de renouveau législatif entreprise par Santé Canada, il y a peu d'obstacles à la proposition des modifications législatives qui pourraient s'avérer nécessaires. Quant à la seconde, nous avons observé directement lors des audiences publics à Washington auxquelles participaient les mêmes fabricants et les mêmes produits que pour les demandes canadiennes, beaucoup plus de communication non seulement aux audiences mais beaucoup plus largement et immédiatement sur Internet (les détails figurent à l'annexe C).

6.2.3 La transparence est essentielle à la confiance du public. Nous croyons que la DGPS devrait établir de nouvelles normes d'accès à l'information à tous les stades du processus d'examen des médicaments pour rehausser la transparence et la confiance du public. Nous n'avons perçu aucune justification de l'application actuelle concernant «la confidentialité commerciale». Nous constatons : a) que le Canada peut au moins imiter les normes d'ouverture de notre partenaire commercial le plus proche et le plus important, b) que la nouvelle législation devrait comporter des audiences publiques s'il y a lieu, c) que si un produit a traversé le processus d'audience publique de la FDA, cette information devrait faire partie du processus d'examen des nouveaux médicaments du PPT et que le demandeur devrait être responsable de fournir des copies des transcriptions et des enregistrements vidéo. D'autres mécanismes employant les communications modernes et d'autres technologies peuvent être établis pour atteindre des normes encore plus élevées plus efficacement - les audiences publiques ne sont pas suffisantes par elles-mêmes.

6.2.4 Nous croyons qu'un système qui permet la tenue d'audiences publiques s'il y a lieu est souhaitable, mais par elles-mêmes les audiences publiques n'offriront pas un niveau de transparence suffisant - d'autres méthodes doivent également s'appliquer.

6.2.5 Nous appuyons fortement un bureau des affaires des consommateurs et de la participation publique pour Santé Canada ayant les ressources nécessaires pour appliquer un vigoureux programme d'information et de participation des consommateurs à l'aide des diverses techniques de communication modernes. Le CCS a déjà endossé ce concept et a également recommandé le poste d'un scientifique en chef qui aidera également à diffuser l'information au public.

6.2.6 Le bureau des affaires des consommateurs et de la participation publique peut mettre en oeuvre une vaste stratégie de vulgarisation qui offrira l'information sous une forme significative et accessible, enrichira et augmentera le processus d'examen des médicaments, et contribuera à rehausser la confiance en Santé Canada. Le CCS comprend que Santé Canada est engagé activement dans ce processus.

6 .2.7 Santé Canada doit chercher activement à informer les Canadiens aussi largement que possible sur le processus d'examen des médicaments. Le PPT devrait établir sa propre stratégie.

6.3 Efficacité et efficience

6.3.1 L'efficience et l'opportunité sont étroitement interreliées. Un exemple régulier d'inefficacité et de perte de temps nous est proposé à l'annexe F. L'annexe F du Règlement sur les aliments et drogues établit une liste des ingrédients qui doivent être traités comme des médicaments sur ordonnance. L'ajout ou le retrait d'un ingrédient de l'annexe nécessite une modification du Règlement, processus long et fastidieux ajoutant peu de valeur à ce genre de décision. Le renouveau législatif permet la possibilité de corriger, au besoin. Nous l'avons noté avec d'autres préoccupations figurant dans les résultats de notre questionnaire pour le porter à l'attention de Santé Canada.

6.3.2 À long terme, l'harmonisation internationale devrait améliorer l'efficience. Entre-temps, cela ne devrait pas empêcher ou reporter des projets coopératifs à court terme ou des coentreprises d'explorer le potentiel d'améliorations mutuelles pour le traitement des demandes. Par exemple, tel que noté précédemment, la comparaison des expériences avec des modèles standard lisibles électroniquement pour l'examen des demandes pourrait bien apporter des améliorations à l'efficience à un coût négligeable, et ce dans un domaine où le PPT a une expérience utile.

6.3.3 Nous reconnaissons et nous soutenons les efforts de Santé Canada visant l'harmonisation internationale, mais nous croyons que ce processus à long terme peut être amélioré par des accords plus immédiats d'échanges des conclusions scientifiques entre les organismes de réglementation de façon bilatérale ou multilatérale sans préjudice, avec le consentement des demandeurs concernés et leur engagement à fournir des renseignements identiques à toutes les instances. Nous ajoutons avec insistance qu'il ne s'agit pas de l'harmonisation des approbations.

6.3.4 Lorsque la politique de recouvrement des coûts a été imposée à l'industrie, elle était considérée comme contribuant éventuellement à l'efficience. L'industrie nous a dit que ce ne fut pas le cas. L'industrie a demandé au gouvernement un moratoire général sur la politique de recouvrement des coûts en attendant une examen complet. Les sommes en cause sont importantes : des 25,3 millions de dollars dépensés actuellement par le PPT pour l'examen préalable à la mise en marché de tous les médicaments (pharmaceutiques et biologiques), environ 20,9 millions proviennent de l'industrie. Le PPT a entamé un examen du recouvrement des coûts dont les résultats sont attendus l'an prochain.

6.3.5 La comparaison des dépenses pour l'examen des médicaments entre les instances est difficile parce que les mandats ne sont pas les mêmes. Toutefois, la FDA dépense environ 220 millions de dollars US (320 millions canadiens) pour les demandes de nouveaux médicaments, dont 85 millions de dollars US (123 millions canadiens) ou 36 p. 100, proviennent des frais aux utilisateurs. Le PPT nous informe qu'il dépense 25,3 millions de dollars canadiens pour l'examen préalable à la mise en marché des médicaments, dont 20,9 millions de dollars proviennent du recouvrement des coûts, soit plus de 82 p. 100.

6.3.6 Dans d'autres instances, l'équivalent du recouvrement des coûts est décrit comme «frais aux utilisateurs». Il peut s'agir d'une expression plus exacte puisqu'elle indique une relation moins serrée entre ce qui est prélevé et ce qui est offert. Les frais aux utilisateurs de la FDA de 250 000 $ US pour chaque demande de nouveau médicament sont reliés vaguement au coût réel de l'examen d'une demande. Ce ne sont pas toutes les demandes faites à la FDA qui font l'objet d'une audience publique, et le coût d'une audience publique ajoute au coût réel de l'examen, et pourtant, les frais sont les mêmes. De plus, le revenu tiré des frais aux utilisateurs s'ajoute aux recettes existantes, alors que dans le cas canadien, le revenu tiré du recouvrement des coûts s'est substitué en grande partie aux crédits parlementaires. L'expérience du Royaume-Uni indique qu'un processus de réglementation pourrait être financé entièrement par les frais aux utilisateurs. Les fonctionnaires de l'Union européenne considèrent qu'un ratio de frais aux utilisateurs de 75:25 est idéal. Un ratio de 50:50 semblerait peut-être plus acceptable au Canada, et ce fut l'intention originale; toutefois, en attendant le résultat de l'examen du PPT, nous concluons qu'il ne semble exister aucune preuve que le programme de recouvrement des coûts du Conseil du Trésor pour le processus d'examen des médicaments ait amélioré l'efficience du processus et puisse avoir

causé en fait certaines difficultés de ressourcement lorsque le revenu du recouvrement des coûts n'est pas obtenu.

6.3.7 Nous savons que le PPT a lancé un examen du recouvrement des coûts, mais la confiance du public en Santé Canada est amoindrie chaque jour par la perception actuelle de l'application de cette politique, et pour des raisons tout à fait différentes, l'industrie déteste également la politique actuelle. À court terme, Santé Canada devrait établir une stratégie pour informer le public sur la distinction claire et visible entre le recouvrement des coûts et le processus d'examen des nouveaux produits. Santé Canada devrait adopter aussi rapidement que possible un ratio 50:50 entre les frais du recouvrement des coûts et les crédits parlementaires, dans le but de réduire la proportion du recouvrement des coûts dans l'avenir, et un énoncé de principe devrait être établi - et exprimé, si nécessaire, dans la prochaine législation - indiquant que les recettes du recouvrement des coûts ne dépasseront jamais les crédits parlementaires pour le processus d'examen des médicaments.

6.3.8 La surveillance postérieure à l'approbation est un point faible dans toutes les instances posant des défis sérieux pour le suivi scientifique rigoureux des décisions relatives aux approbations. Le Canada devrait agir énergiquement dans ce domaine non seulement pour mettre en oeuvre la stratégie conçue par le PPT mais pour lancer des projets pilotes avec des groupes bien définis visant à évaluer les risques et les avantages dans les diverses situations réelles, ce qui sera un complément valable des essais cliniques préalables à l'approbation.

6.3.9 Le processus d'examen des médicaments est efficient en ce qu'il donne le résultat voulu à un coût et avec un effort minimes; il est efficace en ce qu'il donne le résultat voulu en offrant un avantage maximal. Comme nous pouvons le voir dans Krever et a l'avantage maximal signifie que le bien-être et la sécurité de la personne doivent avoir préséance sur les considérations de l'avantage commercial ou du processus bureaucratique. Selon nous, si l'on veut que le processus d'examen des médicaments soit efficace, il doit obtenir la confiance du public. Il doit être considéré crédible et basé sur de solides données scientifiques.

6.3.10 Une stratégie de surveillance postérieure à la mise en marché (ou à l'approbation) bien conçue semble essentielle à l'efficience du processus d'approbation des médicaments. Nous avons indiqué dans notre rapport provisoire qu'un tel système aiderait à améliorer la qualité des demandes et la minutie de l'enquête, et donc l'efficience.

6.3.11 Une stratégie complète de surveillance postérieure à la mise en marché a été établie pour la DGPS et, pour Santé Canada, l'aspect le plus important est simplement de la financer (peut-être avec une contribution appropriée de l'industrie).

6.4 Médicaments orphelins

6.4.1 Il existe une heureuse convergence dans le domaine des produits orphelins. Ces produits, qui bénéficient à un segment de la population très petit mais qui en a beaucoup besoin, ne sont généralement pas mis en marché par les grands fabricants parce que le coût du développement et de l'introduction ne justifie pas le rendement financier. Cette approche axée sur le marché, bien que tout à fait justifiable quant aux techniques d'évaluation actuelles, signifie que les Canadiens ayant le plus besoin d'aide n'auront pas accès à ces produits parce qu'ils sont trop peu nombreux.

6.4.2 Nous avons été impressionnés par le programme des produits orphelins de la FDA aux États-Unis, et également par les initiatives en cours pour la mise en oeuvre dans l'Union européenne. Un programme semblable a été proposé pour le Canada dans le rapport Gagnon de 1992, mais la réponse officielle a été qu'il était inutile - que les programmes actuels suffiraient. Nous en sommes moins certains. Un programme spécifique, combinant les incitatifs, apporterait de nouveaux talents novateurs sur le marché des produits thérapeutiques, ajouterait aux innovations exportables du Canada et offrirait des possibilités de coentreprises internationales (particulièrement avec l'Europe). Aspect plus important, il confirmerait dans l'esprit du public l'engagement de Santé Canada envers la protection de la santé de *tous* les Canadiens, y compris ceux dont les besoins sont si rares qu'ils échappent à l'attention normale du marché.

6.4.3 Cette recommandation du rapport Gagnon devrait être mise en oeuvre. Il existe des possibilités de coopération internationale et de synergie dans ce domaine avec l'AEEM, la FDA et le Japon. Le PPT devrait adopter un programme approprié d'incitatifs pour l'industrie, programme pour lequel un financement approprié sera nécessaire. L'administration par les instituts de recherche en santé du Canada mérite une considération.

7. Ressources

7.1 On considère pratiquement à l'unanimité que le processus d'examen des médicaments dispose de ressources insuffisantes, mais que le problème n'est pas simplement un problème d'argent. Il y a des problèmes généraux de ressources humaines qui sont spécifiques à un milieu scientifique. Il y a également des problèmes financiers généraux ainsi que des problèmes découlant de la politique de recouvrement des coûts du Conseil du Trésor. Il y a également des problèmes causés par ce qu'on pourrait appeler les ressources administratives, par lesquels nous attendons que les gestionnaires ont accès à trop peu de moyens ou d'options pour accomplir leur travail. Et, naturellement, tous ces problèmes sont interactifs.

7.2 Un exemple du manque de ressources est celui de «l'indisponibilité» du processus d'examen des médicaments. Tel que susmentionné, son élimination réduirait grandement bon nombre des préoccupations relatives à l'opportunité. Le personnel de la DGPS a affirmé que s'il pouvait être autorisé, le temps de traitement de la plupart des demandes serait d'un ordre acceptable pour les pays industrialisés. La confiance publique dans le processus sera rehaussée si l'on peut voir clairement que les présentations sont traitées de manière opportune et les demandeurs auront une certaine garantie que les avantages commerciaux de l'investissement dans un médicament ne seront pas menacés par un processus lent ou inefficace. Bien que les ressources financières et humaines doivent être prises en compte, certaines ressources administratives supplémentaires, sous forme de nouvelles procédures, seraient également utiles. Par exemple, on nous a indiqué que lorsque d'autres instances comparables ont déjà examiné un nouveau produit, la DGPS pourrait très bien - avec l'accord du demandeur - tirer avantage du travail des autres et émettre les avis de conformité conditionnels, sous réserve d'une période convenue au cours de laquelle les préoccupations pourraient être exprimées, de sorte que les avis de conformité définitifs puissent être délivrés, option administrative qui n'est pas disponible actuellement.

7.3 De même, le bureau des affaires des consommateurs et de la participation publique proposé par le CCS offre éventuellement d'autres ressources administratives pour régler les problèmes de transparence et d'efficacité, tout au moins. Le CCS a déjà approuvé le travail d'élaboration des politiques fait à cet égard. Les attentes du public sont élevées et des mesures sont nécessaires.

7.4 De façon plus générale, il est clair que les exercices de réduction budgétaire du gouvernement ont diminué les ressources humaines bien en-deçà de ce que tout gestionnaire aurait pu prévoir ou vouloir. Malgré les mesures qui ont partiellement réussi à améliorer l'efficacité, le manque de ressources et les critiques régulières du PPT ne peuvent induire un bon moral chez le personnel. Un moral bas va à son tour contrarier une efficacité optimale. Nous avons remarqué avec inquiétude les commentaires sur le moral au PPT exprimés dans le rapport d'un consultant externe[1].

7.5 Successivement, les études ont confirmé ce que les scientifiques savent depuis longtemps : une masse critique est essentielle pour un travail scientifique efficace. Ils doivent avoir le temps et la possibilité d'interagir, et ils doivent disposer des ressources professionnelles sur lesquelles ils puissent compter. Ils doivent avoir la possibilité de vivre et de travailler comme scientifiques et *chercheurs*, de publier, d'examiner le travail des autres, de communiquer non seulement par voie électronique mais par la pratique démontrée par le temps de la

---

[1] Pricewaterhouse Coopers, Programme des produits thérapeutiques : Évaluation de base du processus d'examen des présentations de médicaments, p. 79-80, 26 avril 1999.

participation à des réunions scientifiques. Les avantages à tirer de permettre aux scientifiques de développer leur carrière scientifique ne peuvent être exagérés.

7.6 En recommandant au ministre la nomination d'un scientifique en chef, le CCS a cru que des mesures appropriées seraient prises dans cette direction. Ce scientifique devrait avoir le mandat et les ressources nécessaires pour établir une masse critique de scientifiques crédibles qui peuvent participer au processus d'examen aussi rapidement que possible. La masse critique et la crédibilité scientifique seront atteintes beaucoup plus rapidement et efficacement si on le fait de concert avec le milieu médical universitaire du Canada. Santé Canada devrait améliorer sa collaboration avec le milieu médical clinique et universitaire; il faudra une attention et des ressources pour rehausser et entretenir des liens efficaces.

7.7 La compétence scientifique fondamentale est la première priorité. Santé Canada n'attirera ni ne conservera les candidats les plus brillants sans une ambiance professionnelle dans laquelle les scientifiques peuvent relever les défis grâce à l'infrastructure appropriée, publier librement et rencontrer leurs pairs tout aussi librement, et poursuivre la productivité scientifique la plus élevée, dans les contraintes d'un mandat réglementaire fédéral. Le potentiel de travail interactif par les instituts de recherche en santé du Canada (IRSC) peut élargir les horizons du PPT, non pas en réintroduisant la recherche directe au sein du PPT, mais plutôt en s'assurant que les scientifiques du PPT peuvent et sont en fait encouragés à consacrer une portion de leur temps de travail à la recherche avec des collègues ailleurs pour leur permettre de conserver et de rehausser leurs compétences professionnelles et de bénéficier d'un avancement professionnel.

7.8 Nous avons constaté avec inquiétude, et nous l'avons souligné au cours des consultations, que le nombre des postes intérimaires chez les gestionnaires scientifiques supérieurs de la DGPS est très élevé et que certains de ces postes sont demeurés comblés par du personnel intérimaire pendant plusieurs années de suite. Nous avons également été informés que même lorsqu'un poste a été autorisé et que les fonds salariaux ne sont pas en doute, il faut généralement jusqu'à deux ans pour combler le poste, ce qui est inacceptable. On doit trouver les fonds pour les salaires, le matériel et les autres nécessités du travail scientifique, sinon il sera difficile de recruter les meilleurs scientifiques dont Santé Canada a besoin, et il lui sera difficile de conserver les meilleurs dont il dispose déjà.

7.9 Aucun examen des ressources ne peut éviter la question de la politique de recouvrement des coûts du Conseil du Trésor. Nous ne répéterons pas notre propos antérieur autrement qu'en disant que l'application actuelle de cette politique est insatisfaisante pour l'industrie, pour les consommateurs et pour les gestionnaires du PPT. Quoique mis en oeuvre, le recouvrement des coûts ne peut pas se substituer à des crédits parlementaires suffisants.

8. Recommandations

Nous recommandons que le ministre obtienne le financement nécessaire pour que les gestionnaires de Santé Canada puissent mettre en oeuvre les recommandations suivantes :

8.1 Accorder la priorité à l'affectation des ressources pour rehausser la capacité scientifique professionnelle de Santé Canada.

8.2 Affecter immédiatement des ressources pour étudier les demandes en attente.

8.3 Affecter le financement suffisant pour assurer l'opportunité acceptable pour toutes les demandes.

8.4 Établir un système d'examen des priorités pour les nouveaux produits nécessaires de façon urgente, système harmonisé avec celui de la FDA.

8.5 Améliorer la transparence du processus d'examen des médicaments.

8.6 Établir le bureau des affaires des consommateurs et de la participation publique sans autre délai et lui fournir les ressources nécessaires.

8.7 Concevoir et mettre en oeuvre une vaste stratégie de communication sur le processus d'examen des médicaments.

8.8 Accélérer l'échange international des conclusions scientifiques avec les principaux partenaires.

8.9 Concevoir et mettre en oeuvre une stratégie postérieure à l'approbation.

8.10 Revoir la politique de recouvrement des coûts.

8.11 Établir un programme pour les produits orphelins.

9. Remerciements

9.1 Nous tenons à remercier tous ceux qui nous ont aidés dans cette tâche, et particulièrement le docteur Bernard Schwetz, dont l'aide a été inestimable. Les répondants à notre questionnaire ont toute notre reconnaissance. Et merci également au secrétariat du Conseil consultatif des sciences et au personnel de la Direction générale de la protection de la santé qui nous ont permis de terminer notre tâche à temps.

Annexe A

Objectifs de l'étude du processus d'examen des médicaments effectuée par le Conseil[1]

Une étude indépendante sur le processus d'examen des médicaments à la DGPS, dans le but de définir la perception des parties intéressées, de déterminer les forces et les faiblesses, réelles ou perçues, et de tirer des conclusions / faire des recommandations à des fins d'amélioration. Les champs d'étude suivants faisaient partie de la lettre envoyée aux parties intéressées.

1. L'opportunité, le rendement et l'efficacité du processus d'examen des médicaments en général et les améliorations qui pourraient être apportées.

2. La pertinence / justesse du processus prioritaire d'examen des médicaments. Fonctionne-t-il de façon organisée, opportune, rentable et efficace? Pourrait-il être amélioré?

3. La nature équitable, raisonnable et opportune de l'accès du public à l'information sur les présentations de médicaments ainsi que sur la sûreté et l'efficacité des médicaments. Les changements justifiés?

4. L'opportunité de l'harmonisation et de la collaboration de Santé Canada avec les autorités étrangères en matière de réglementation relativement au processus d'examen des médicaments? À quelles conditions?

5. Le recouvrement des coûts et les craintes qu'en exigeant des frais pour l'examen des médicaments le processus d'examen des médicaments risque d'être influé injustement? Comment faire disparaître les inquiétudes?

6. Les principes qui devraient orienter le processus d'examen des médicaments.

Essentiellement, le Comité du CCS effectuera une « mini-enquête » sur le processus de la DGPS pour déterminer si le travail sur le PEM est crédible et présente une information de qualité et dans le but de favoriser une meilleure gestion, s'il y a lieu. Le Comité étudiera le point de vue d'une grande variété de parties intéressées et effectuera peut-être une visite aux États-Unis pour entendre en personne l'opinion de représentants du gouvernement fédéral, du secteur de l'industrie et d'autres parties clés représentant l'opinion publique. Pour ce qui est des autres pays, par exemple les pays européens et l'Australie, une demande écrite sera envoyée aux parties pour obtenir des renseignements de même nature.

---

[1] Le Conseil consultatif des sciences a endossé ces objectifs à la réunion de mai 1999

Le Comité fournira au Conseil des rapports provisoires périodiques sur les progrès effectués qui souligneront les orientations prises qui devront être approuvées, au besoin. Le Comité produira un rapport pour fins d'approbation par le Conseil avant la présentation devant le ministre.

Le fonctionnement du Comité

Principes directeurs :

Le travail du Comité sera fondé sur les résultats. Le Comité devra fournir le meilleur avis impartial possible au ministre et à la DGPS puisqu'il travaille à la protection de la santé des Canadiens.

La pertinence scientifique et socio-économique sera évaluée par le Comité. Cela exigera la présence de membres qui connaissent en profondeur les points clés associés au PEM. Si de tels membres ne sont pas disponibles, le Comité demandera une opinion scientifique probablement en faisant appel à des experts scientifiques externes. Si ce n'est pas possible, le Comité pourra exiger des études additionnelles, soit, vraisemblablement, par des projets de soutien à la recherche ou par d'autres ententes contractuelles, à la condition que cela soit conforme au mandat du Conseil et respecte le caractère confidentiel de l'information.

Les demandes par écrit provenant de parties intéressées seront étudiées en fonction de l'exhaustivité, de la crédibilité et de la pertinence face aux champs d'étude.

L'approche du Comité en ce qui a trait à son travail sera empreinte d'ouverture, d'équité et de transparence. Le Comité s'efforcera d'utiliser efficacement ses ressources. Par conséquent, il réfléchira sérieusement à la possibilité de rencontrer en personne les parties intéressées, ce qui pourrait nécessiter des réunions du Comité ou du Conseil selon le cas. On informera les parties intéressées de l'approche choisie par le Conseil.

Le Comité sera sous la direction du président du Comité et tiendra au courant le président du Conseil consultatif des sciences (probablement par l'envoi de copies conformes).

Le Comité présentera ses conclusions et ses recommandations dans des rapports provisoires périodiques ainsi que dans un rapport final, qui devront être examinés et approuvés par le CCS.

Puisque les recommandations et les conclusions du Comité contribueront à renforcer le processus actuel d'examen des médicaments au Canada, il sera important de maintenir des communications ouvertes avec l'administration de la Direction générale de la protection de la santé, en particulier le Programme des produits thérapeutiques (PPT).

Compte tenu du rapport sénatorial sur la STbr et des commentaires du Bureau du vérificateur général du Canada sur le PEM, le Comité s'efforcera de tenir ces organisations au courant de l'étude, de ses objectifs, résultats et conclusions.

Stratégies pour faire progresser l'étude, y compris la possibilité de faire appel à des conseillers scientifiques ne faisant pas partie du CCS.

Il faudrait définir le calendrier des activités et les points de repère afin de planifier le travail du Comité et de fixer les attentes du Conseil.

Le Comité devrait normalement présenter l'ébauche d'un rapport provisoire lors de la réunion de septembre 1999 du CCS et l'ébauche d'un rapport final à la réunion de novembre 1999 du CCS.

Le Secrétariat du CCS tiendra les parties intéressées, y compris le PPT, au courant des progrès du Comité dans cette étude.

La participation de tout expert scientifique externe invité à joindre le Comité à titre de conseiller devra respecter les mêmes conditions générales que la participation des membres du Conseil (p. ex. : rémunération, frais de déplacement, conflit d'intérêts, etc.). La présence du ou des conseiller(s) permet d'évaluer en profondeur le bien-fondé et la pertinence, au point de vue de la science, des points soulevés par les parties intéressées et des recommandations qu'elles proposent.

Dans le même ordre d'idées, les conditions générales des ententes contractuelles de soutien à la recherche devront être conformes aux politiques fédérales et au mandat du Conseil.

ÉTUDE DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS
Mai 1999
Version mise à jour en juin 1999
Les noms des organismes interrogés ont été ajoutés, le texte a été remanié et deux organismes supplémentaires (30 d et 32) ont été interrogés

Question 1

Le processus d'évaluation des médicaments est-il, dans l'ensemble, opportun et efficace? Si ce n'est pas le cas, comment peut-on l'améliorer?

7 - L'Association médicale canadienne (AMC) pense que le processus d'évaluation des médicaments doit être amélioré. Pour ce faire, il convient de réaliser des études après commercialisation officielles afin de vérifier l'efficacité et l'innocuité des médicaments auprès de patients réels qui peuvent être atteints. (L'AMC a annexé une lettre datant du 8 juin 1993 rédigée en réponse au rapport Gagnon et dont 3 des 5 paragraphes soulignent la nécessité d'améliorer les programmes mis en œuvre après commercialisation.)

9 - Le Conseil canadien des intervenants en matière de thérapie pense que les résultats obtenus par la Direction générale de la protection de la santé (DGPS) à l'issue de l'évaluation des médicaments antiviraux sont médiocres en comparaison de ceux enregistrés dans les autres pays développés et que, de ce fait, il est nécessaire de réaliser les changements suivants :

a) Il convient d'assurer l'opportunité des évaluations en introduisant des délais obligatoires;
b) Il convient d'introduire des « évaluations consécutives ». Le Canada devrait reprendre à son compte les méthodes de la Food and Drug Administration (FDA) qui réalise des consultations informelles avant la soumission des médicaments et se donne les moyens de parrainer des entreprises afin qu'elles puissent, au cours de l'évaluation, communiquer aux organismes de contrôle les données les plus récentes au sujet des recherches actuelles;
c) La DGPS doit réaliser simultanément et non pas successivement plusieurs évaluations : il ne faut pas s'attendre à ce que les études cliniques permettent de vérifier les données chimiques et commerciales;
d) Il convient de toujours charger les mêmes employés et les mêmes personnes-ressources des évaluations. En effet, il semblerait que les entreprises ont affaire à des personnes différentes chaque fois qu'elles communiquent avec la DGPS au sujet d'une évaluation;
e) Les normes relatives aux modalités des présentations de la DGPS doivent correspondre à celles en vigueur dans les autres pays;

f) La DGPS doit harmoniser ses normes d'évaluation de présentation des médicaments avec celles des autres pays;La DGPS doit contrôler l'innocuité et l'efficacité à long terme des médicaments homologués et offrir des informations à ce sujet à l'intention des consommateurs;

g) Il n'est pas certain que la DGPS possède des ressources financières et un nombre de spécialistes suffisants, ou alors, il se pourrait que ses ressources actuelles ne soient pas correctement gérées, ou que ses politiques et ses procédures ne permettent pas des évaluations rapides et efficaces;

10 - La Société canadienne du cancer ne possède pas certaines des informations dont elle a besoin pour répondre correctement à cette question; elle ne connaît que des faits épars. Les informations qu'elle a en mains ne lui permettent pas de donner une réponse exhaustive aux questions 1 et 3.

11 - L'Association canadienne du diabète pense que le processus d'évaluation n'est ni rapide ni efficace. Elle conteste son efficacité. Le Canada affiche la plus longue période d'attente (16 mois) par rapport aux É.-U. (12), à la Suède (5), à la Suisse (7), à l'Allemagne (7) et à la Grande-Bretagne (5). En 1997, 46 nouvelles entités moléculaires ont été lancées; le Canada n'a jamais été mentionné parmi les pays qui ont réalisé les premiers lancements. L'Association suggère d'adapter les normes canadiennes à d'autres normes internationales et de calquer le processus d'évaluation sur des systèmes réglementaires qui ont fait leurs preuves.

12 - La Société canadienne du SIDA a accompagné ses réponses de 3 documents : « Position Statement on Reforming Drug Review Process », septembre 1998, 2) « Timeliness and Transparency: Assessing the Review Process for HIV Drugs », novembre 1998 et 3) « Advocacy Update: Reform of the Drug Review Process at HPB », le 17 septembre 1998
Réponse à la question 1 :

a) il faut réviser la politique d'évaluation pour qu'elle couvre l'ensemble des médicaments antiviraux utilisés pour le traitement du sida;

b) il faut rationaliser la bureaucratie;

c) il faut accroître les ressources consacrées à l'évaluation des médicaments destinés aux personnes et délivrés sur ordonnance;

d) il faut changer les méthodes comptables de manière à pouvoir reporter les fonds inutilisés à l'année suivante;

e) il faut tout mettre en œuvre pour accroître la transparence du processus;

f) il faut élaborer une politique concernant la mise en œuvre d'évaluations consécutives;

g) il faut élever les objectifs actuels de l'évaluation au rang d'engagements formels et mettre sur pied des mécanismes qui assurent le respect des délais.

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques :

- Le processus d'évaluation de la présentation des médicaments génériques n'est ni efficace, ni suffisamment rapide;
- Trois graphiques à colonnes traitant de 32 présentations différentes sont annexés. L'évaluation des présentations a été répartie dans deux catégories: chimie et fabrication (C et F) et sécurité et efficacité (S et S). Les évaluations relatives à la C et F enregistrent des résultats beaucoup plus médiocres que ceux obtenus dans la catégorie S et S;
- Les évaluations sont plus lentes que celles des autres pays (voir 11);
- Il convient d'affecter un plus grand nombre d'employés aux évaluations réalisées dans le domaine de la C et F; tous les évaluateurs doivent être formés et faire l'objet d'une surveillance qui permettra d'assurer la cohérence des décisions;
- Les évaluateurs, les gestionnaires et les directeurs doivent être responsables des délais d'évaluation et du respect des objectifs de rendement.

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux :
Réponse positive – la Société considère que, dans son ensemble, le processus est opportun et efficace. Un problème – les retards causés par l'accumulation des présentations qui doivent attendre leur tour avant de pouvoir être évaluées.

15 - L'Association canadienne des soins de santé (ACSS) est consciente des problèmes de l'industrie et pense qu'il convient de les résoudre en assignant des principes obligatoires à la DGSP et en aplanissant les craintes sérieuses concernant le processus de recouvrement des coûts.

16 - L'Association canadienne des aliments de santé :

- Non, il faut étudier la possibilité de commercialiser les médicaments certifiés par des pays étrangers qui possèdent des normes de soins de santé similaires à celles du Canada en leur délivrant des permis conditionnels après les avoir transmis aux spécialistes de la DGPS pour une évaluation finale;
- Il faut réviser le processus de recouvrement des coûts. Une amende est prévue lorsque l'industrie ne respecte pas les normes de rendement, alors que le gouvernement n'est soumis à aucune contrainte lorsqu'il ne respecte pas les délais impartis;
- L'impact du processus de recouvrement des coûts sur les consommateurs, l'industrie, etc., est actuellement étudié par un autre ministère, mais devrait être examiné dans le cadre de ce processus d'évaluation;
- Le processus d'évaluation n'est pas transparent. La frontière entre les demandes pour le statut de produit grand public (PGD) et celles pour le statut de médicament délivré sur ordonnance n'est pas clairement définie, surtout dans le cas des médicaments à base de

plantes médicinales. Les entreprises dépensent parfois des millions de dollars pour obtenir le statut de PGD pour ensuite voir leur demande rejetée et s'entendre dire qu'elle relève plutôt de la catégorie des médicaments délivrés sur ordonnance;

- Il convient de définir clairement les normes d'évaluation et de les communiquer à toutes les parties intéressées.

17 - La coalition canadienne de la santé - pas de réponse directe.

18 - La Société canadienne de l'hémophilie - pas de réponse directe.

21- L'Association pharmaceutique canadienne a relevé une amélioration de la rapidité du processus. qu'elle trouve néanmoins toujours trop lent par rapport à ceux des autres pays étrangers. Elle souligne également les difficultés auxquelles les pharmaciens canadiens doivent faire face lorsqu'un médicament est approuvé aux É.-U., mais pas au Canada (Viagra, certains médicaments servant à traiter le sida). L'impact de la lenteur du processus sur les pharmaciens est double : d'une part, ils doivent expliquer les retards relatifs à la validation des médicaments et, d'autre part, il perdent des clients, étant donné que de nombreux Canadiens se procurent des médicaments aux É.-U.

23 - L'Association canadienne de santé publique relève que ce sont les politiques relatives aux ressources humaines qui portent préjudice à la qualité du processus et des ressources humaines; il convient de trouver des moyens d'attirer et de conserver des employés compétents.

25 - Le Regroupement des Canadiens pour la recherche médicale ne peut pas donner de réponse définitive. Ses commentaires laissent, cependant, entendre que le manque de spécialistes cliniques est l'un des problèmes qui entrave la bonne marche du processus.

21- L'Association des consommateurs du Canada:
Le système doit favoriser la délivrance rapide des nouveaux médicaments servant à traiter les personnes gravement malades, mais doit encourager la prudence concernant l'approbation des produits destinés aux gens en meilleure santé qui n'ont peu ou pas besoin de médicaments. (Il convient de laisser de côté les brevets et les bénéfices économiques et d'accorder la priorité aux produits qui sont le fruit de progrès pharmaceutiques et technologiques).

30 d - La FDA a élaboré un rapport exhaustif concernant les études qu'elle a menées au sujet de la rapidité et de l'efficacité du processus et relève la nécessité de tenir compte du temps de l'industrie et de celui de la FDA. (Voir les tableaux intitulé « New Drug Development » et « Generic Drug Approvals »)

31 - Le Groupement provincial de l'industrie du médicament (GPIM) — qui est un groupe de fabricants de médicaments québécois : il ne sert à rien de changer la loi; il convient d'améliorer l'organisation et le processus et d'utiliser les données d'autres organismes.

32 - La Fondation des maladies du cœur du Canada présente des commentaires au sujet des principes : question 6.

33 - Medical Reform Group :
Le caractère opportun n'est important que pour le traitement de drogues qui représentent une amélioration importante par rapport aux produits déjà sur le marché. La surveillance après la commercialisation est catastrophique au Canada et aux États-Unis (cite des critiques du système américain). Il faudrait adopter de nouveaux critères sur les besoins médicaux afin que les nouveaux médicaments ne soient approuvés que s'ils sont supérieurs aux produits déjà sur le marché (voir 28).

36- Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre:
Non. L'évaluation des produits grand public (PGP) mis en vente libre est prend encore plus de temps qu'en 1996. On s'inquiète particulièrement de l'évaluation de la composition chimique et des données de fabrication.
L'évaluation des médicaments qui passent d'un produit sur ordonnance à un produit en vente libre devrait être prioritaire, et les ressources devraient être affectées en conséquence. Le délai de 18 mois pour le retrait d'un ingrédient de l'annexe F du *Règlement sur les aliments et drogues* est trop long. **Nous prions instamment le Conseil consultatif des sciences (CCS) de recommander au Ministre l'élaboration d'une méthode de rechange à l'annexe F.**
Lors de l'introduction du recouvrement des coûts, la DGPS a accepté un processus d'imputabilité selon lequel les frais seraient réduits si les délais n'étaient pas respectés. L'industrie est dans l'impossibilité d'évaluer l'efficience. **Nous demandons au CCS de recommander au Ministre la mise sur pied d'un Bureau de l'autogestion de la santé au sein du PPT et que ce bureau soit doté d'évaluateurs formés pour effectuer l'évaluation des présentations de drogues PGP.** (Le Bureau des médicaments en vente libre et le Bureau des médicaments humains prescrits devraient être fusionnés pour former le Bureau des évaluations pharmaceutiques). En outre, l'Association recommande :

a) que l'industrie et le gouvernement collaborent pour définir des délais d'évaluation raisonnables et réalistes;
b) qu'on dote tout le personnel des compétences scientifiques et réglementaires nécessaires grâce à la formation;
c) qu'on établisse des cibles de rendement personnelles pour tous les employés et que ces cibles soient assorties de liens avec les salaires et d'autres mesures incitatives pour encourager le personnel à atteindre ou à dépasser ces cibles;

d) que l'on utilise des attestations pour approuver les monographies de produits dont le niveau de risque est moins élevé afin de remplacer les évaluations avant la vente, le tout assorti du même système d'avis qui est actuellement utilisé pour les matériels médicaux et les cosmétiques.

38 - La Fondation canadienne du Parkinson croit que le processus fonctionne de manière opportune et que la DGPS tente consciencieusement d'accélérer les choses. Des mécanismes ont-ils été mis en place pour que les modifications aux protocoles d'approbation soient traitées rapidement?

40 - Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés :
Les commentaires ont été nombreux. Une des suggestions vise à mettre en oeuvre une proposition de Santé Canada pour l'établissement d'une structure d'homologation des produits pharmaceutiques qui comprendrait la réévaluation des produits, c.-à-d. un plus grand contrôle réglementaire (Conseil d'examen du prix de médicaments brevetés). On suggère également que les nouvelles drogues fassent l'objet d'une comparaison avec les thérapies standard relativement à l'innocuité et à l'efficacité.

41 - Association canadienne de l'industrie du médicament :
Non. Fournit une liste des lacunes du processus relativement aux cibles de rendement établies par la DGPS et aux délais d'évaluation des autres pays. Il faudrait examiner ce qui se fait ailleurs et en tirer des leçons. Une agence dotée des ressources nécessaires pourrait peut-être faire ce travail.

42 - Ministères provinciaux de la Santé. Le ministre de la Santé de la Nouvelle-Écosse ne peut répondre à cette question, mais se dit préoccupé du fait que des médicaments puissent être commercialisés sans l'information nécessaire pour déterminer s'ils sont supérieurs aux thérapies déjà utilisées.

45 a – Dr Holbrook déclare que la réponse dépend des intervenants.
Les délais d'approbation sont plus longs que dans les autres pays. Très peu de médicaments révolutionnaires ayant une incidence notable sur la longueur ou la qualité de la vie sont approuvés. Un système raisonnable devrait être mis en place pour cerner ce genre de médicaments et en accélérer l'évaluation. Au lieu d'essayer d'améliorer les délais moyens pour l'évaluation, on devrait établir une hiérarchie de l'importance des présentations.
Pour accélérer l'évaluation des médicaments, les quatre points suivants sont essentiels :

a) Un personnel compétent : fournir une formation approfondie sur les éléments fondamentaux; augmenter le nombre d'employés (le nombre actuel semble insuffisant); la DGPS devrait faire une meilleure utilisation du grand bassin d'expertise qui existe au Canada;

b) Les coûts : une augmentation du nombre des employés et l'utilisation d'experts externes augmentent les coûts. Une agence d'approbation des drogues indépendante, d'une certaine façon, du gouvernement (plus semblable à la FDA) pourrait améliorer la situation;

c) Un suivi adéquat après la mise en marché : un processus d'approbation accéléré devrait absolument être assorti d'un système rigoureux de surveillance après la mise en marché.

d) La rigueur du travail et la plus grande impartialité possible : ces principes devraient imprégner tous les processus élaborés.

45 b - Dr Noni MacDonald : la DGPS ne possède pas l'envergure nécessaire pour les évaluations internes, et les décisions finales sont souvent prises par des bureaucrates qui n'apprécient pas les opinions divergentes.

45 c - Dr John Gill croit que le personnel actuel est insuffisant. La direction appuie très peu le personnel. On devrait engager un plus grand nombre d'évaluateurs internes et avoir recours à la sous-traitance pour une partie du travail. La structure juridique diffère entre les États-Unis et le Canada en ce qui a trait à l'homologation, et le public devrait être informé de ces différences. Pour une plus grande transparence, les sociétés qui soumettent la demande et les évaluateurs de la DGPS devraient pouvoir présenter leurs résultats devant un comité consultatif, dans un contexte public.

47 - Merck Frosst estime que le processus n'est pas efficace, efficient et opportun.

- Depuis le rapport Gagnon en 1992, la restructuration a donné lieu à une nette diminution du nombre de scientifiques, tant parmi les évaluateurs que parmi les gestionnaires, et à l'émission d'un nombre incalculable de lignes directrices, de politiques et d'exposés de principes;
- Les évaluations de la composition chimique et de la fabrication commencent après l'expiration des délais de rendement ciblés;
- Merck Frosst suggère :

a) la création d'une agence canadienne de réglementation des drogues, indépendante et de premier ordre, dotée d'un personnel hautement qualifié et de scientifiques motivés. L'Agence serait financée adéquatement par des fonds publics et percevrait des frais auprès des sociétés pharmaceutiques. Elle aurait

pour mandat d'évaluer les présentations et d'approuver rapidement les produits thérapeutiques innovateurs;

b) une augmentation de l'utilisation d'experts externes;

c) une augmentation des partenariats avec d'autres organismes réglementaires importants;

d) un encouragement pour l'harmonisation des exigences avec l'Union européenne et les États-Unis, ce qui comprendrait une harmonisation des exigences relatives au contenu pour les demandes afin de se conformer à la formule acceptée par les autres pays.

Répandre l'utilisation de la présentation informatisée : Merck Frosst a utilisé cette technologie pour l'évaluation de 5 de ses produits.

Inclure des délais-limites pour l'évaluation des présentations de drogues dans la *Loi sur les aliments et drogues*.

48 - L'Association canadienne pour la thérapeutique des populations souligne le besoin pour une évaluation systématique des médicaments après leur mise en marché. Elle encourage fortement la mise en place d'approbations conditionnelles. La DGPS devrait avoir accès à des données qui lui permettraient de faire une évaluation continue des produits sur le marché. (Beaucoup d'autres commentaires.)

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques :
Depuis 1993, l'évaluation pour 2 des 4 présentations de drogues pour la sclérose en plaques a subi d'importants retards par rapport aux évaluations dans d'autres pays. Les deux autres évaluations ont eu lieu dans des délais raisonnables. Depuis 1998, on a pu constater un autre grand retard pour une présentation qui avait obtenu le statut d'« évaluation accélérée ».

65 - Les comités fédéraux, provinciaux et territoriaux sur les questions pharmaceutiques ne répondent pas directement aux six questions. Il faut noter que cette réponse est paraphée par deux personnes, dont une a répondu à la plupart des questions, sauf la présente question, la question 2 et la question 6 (voir les ministères provinciaux de la Santé (Nouvelle-Écosse) au numéro 42, ci-dessus).

Question 2

Le processus d'évaluation prioritaire des présentations de drogues fonctionne-t-il de façon efficace, efficiente, rapide et rigoureuse? Si votre réponse est non, expliquez pourquoi et ce qui devrait être fait pour améliorer le processus.

7 - L'Association médicale canadienne (AMC) indique que le processus pourrait être amélioré par la mise sur pied d'un comité consultatif de médecins. Les médecins pratiquants pourraient ainsi participer plus activement au processus et la transparence de celui-ci en serait améliorée.

9 - Le Conseil canadien des intervenants en matière de thérapie souligne que la DGPS devrait réécrire sa politique sur le traitement prioritaire afin d'y inclure tous les médicaments antiviraux liés au VIH. Le libellé de la politique de la FDA sur l'évaluation prioritaire devrait être adopté, de même que l'interprétation qu'en fait la FDA.

10 - La Société canadienne du cancer suggère qu'on définisse des critères spécifiques pour déterminer l'admissibilité au processus d'évaluation prioritaire. Le processus devrait clairement décrire les preuves comparatives nécessaires relativement à l'efficacité étant donné que le médicament mis à l'essai peut en être aux premières étapes de son évaluation. En outre, lorsque le médicament réussit l'épreuve du processus d'évaluation accélérée, il devrait ensuite être soumis à une évaluation standard complète lorsque de nouvelles données deviennent disponibles, et ce au moyen des mêmes tests de performance que pour le processus d'évaluation standard.

11 - L'Association canadienne du diabète souligne qu'il faudrait éclaircir les exigences relatives au traitement prioritaire de l'évaluation. En 1998, seulement 2 demandes ont fait l'objet d'un traitement prioritaire comparativement à 28 autres demandes.
L'Association canadienne du diabète comprend que le traitement prioritaire cible un délai de 6 mois pour délivrer un avis de conformité. Si ce délai est vraiment de 6 mois, il est évident que le processus ne fonctionne pas bien.
Les cibles du processus d'évaluation devraient être réexaminées et observées avec rigueur.
Les examinateurs devraient être tenus responsables des délais d'exécution. (Ce point a déjà été mentionné à la question 1 sous la rubrique du personnel de la DGPS.)

12 - La Société canadienne du SIDA estime que le processus de traitement prioritaire de l'évaluation des drogues ne fonctionne pas bien, surtout pour les drogues relatives au sida:

- Aucune présentation de drogue pour le sida n'a fait l'objet d'un traitement prioritaire depuis 1996 en raison de critères restrictifs et de la politique actuelle;

- La politique de traitement prioritaire de l'évaluation des drogues adoptée par la FDA exige simplement que la nouvelle drogue « [TRADUCTION]... *présente le potentiel de satisfaire des besoins qui ne sont pas satisfaits...*» , alors que la politique canadienne exige « *...une efficacité considérablement améliorée ou une diminution du risque par rapport aux thérapies existantes ... pour le traitement d'une maladie ou d'une condition qui n'est pas gérée adéquatement par un médicament sur le marché au Canada* », soit une définition beaucoup plus étroite;
- On devrait réviser les critères de la politique de traitement prioritaire des présentations de drogues;
- On devrait tenir compte des besoins des personnes affectées par le sida pour qui les médicaments de pointe sont essentiels si elles veulent vivre dans les meilleures conditions possibles.

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques ne fait aucun commentaire sur cette question.

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux : aucun commentaire.

15 - L'Association canadienne des soins de santé : aucun commentaire.

16 - L'Association canadienne des aliments de santé : aucun commentaire.

17 - La Coalition canadienne de la santé : aucune réponse directe.

18 - La Société canadienne de l'hémophilie : aucune réponse directe.

21 - Oui. L'Association des pharmaciens du Canada indique que, selon elle, le processus de traitement prioritaire des présentations de drogues fonctionne bien.
Il lui semble pourtant que les ressources employées dans le cadre du traitement prioritaire diminuent les ressources disponibles pour le traitement standard.
Il importe d'augmenter la capacité du Programme des produits pharmaceutiques (PPT) lorsque le traitement prioritaire entraîne un surcroît de travail.

23 - L'Association canadienne de santé publique a l'impression que les produits « prioritaires » sont en fait de nouvelles substances actives. La DGPS possède-t-elle l'expertise nécessaire?
D'autres professionnels et des spécialistes de la réglementation pourraient améliorer l'efficience du processus relatif aux avis de conformité.

25 - Oui. Canadiens pour la recherche médicale (CRM) : La question est très difficile à évaluer de l'extérieur.
On tient pour acquis que le système est bien implanté, que les besoins en matière de main-d'oeuvre scientifique et de ressources financières sont surveillés et que les problèmes sont résolus lorsqu'ils surviennent.
Le CRM se demande comment la sous-traitance pour l'évaluation des médicaments pourrait mener à un système d'évaluation plus efficace, efficient, rapide et rigoureux.

28 - L'Association des consommateurs du Canada croit qu'on peut répondre aux questions 2 et 3 ensemble. Un système ouvert, transparent et responsable, qui tiendrait compte des questions sociales et éthiques, améliorerait le processus de traitement prioritaire des présentations de drogues ainsi que l'accès public à l'information relative aux présentations de drogues, et à l'innocuité et à l'efficacité des médicaments.
Le traitement prioritaire devrait être accordé d'après les besoins pour le médicament plutôt d'après la demande. Un des critères pour le traitement prioritaire devrait être les avantages thérapeutiques du médicament plutôt qu'une amélioration des fonctions normales. Le prix des médicaments pour les consommateurs devrait aussi entrer en jeu.

30 d - La FDA indique qu'en ce qui a trait au caractère opportun de l'évaluation des « drogues prioritaires », il serait bon de consulter la section « accelerated approval » (approbation accélérée) dans le diagramme intitulé « New Drug Development » (élaboration de drogues nouvelles).

31 - GPIM - groupe québécois de fabricants de produits pharmaceutiques : aucun commentaire.

32 - Commentaires de la Fondation des maladies du coeur du Canada sur les principes : voir la question 6.

33 - Questions du Medical Reform Group : Qui a établi les principes régissant les drogues prioritaires? Ont-ils été soumis à une discussion publique et ouverte? Des mécanismes ont-ils été mis en place pour un examen ouvert de ces principes?

36 - L'Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre : aucun commentaire.

38 - Oui. La Fondation canadienne du Parkinson estime que le processus de traitement prioritaire fonctionne de manière efficace, efficiente, rapide et rigoureuse.

40 - Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés suggère qu'on publie un sommaire des critères régissant l'approbation de nouveaux produits, semblable au sommaire déclaratoire

(Disclosure Summary) de la FDA. Ce document devrait également inclure de l'information sur les critères qui entrent en jeu pour l'octroi du traitement prioritaire. Toute l'information scientifique qui a servi de fondement pour la décision d'approuver devrait aussi être rendue publique. (Ce qui répond également à la question 3.)

41 - L'Association canadienne de l'industrie du médicament appuie le concept du traitement prioritaire, mais signale que ces évaluations sont les mêmes que les évaluations standard à ceci près qu'elles sont effectuées un peu plus rapidement.
Les évaluations prioritaires se font au détriment du processus d'évaluation standard.
Elle suggère qu'on conçoive plutôt un système plus efficace pour toutes les évaluations de drogues.
Le statut de l'évaluation devrait être maintenu tout au long de l'examen de la présentation, c.-à-d. tout au long de la première évaluation et, s'il y a lieu, pendant les évaluations subséquentes.
Les délais pour le traitement prioritaire ne sont pas toujours respectés.
Les pays où les systèmes d'approbation des drogues sont efficients et opportuns bénéficient d'une meilleure économie et la contribution financière à la recherche et à l'infrastructure de la recherche est plus élevée.

42 - Ministères provinciaux de la Santé (Nouvelle-Écosse) : aucun commentaire.

45 a - Dr Holbrook : aucun commentaire.

45 b - Dr Noni MacDonald : Elle s'inquiète de savoir qui prend les décisions en ce qui a trait au statut prioritaire et si la DGPS possède l'expertise nécessaire pour prendre cette décision et pour évaluer les produits. Le public devrait être mieux informé sur le fonctionnement du « traitement accéléré ». La DGPS devrait se pencher sur la question de la possibilité de conflits d'intérêts, c'est-à-dire examiner si elle possède tout le savoir-faire et l'expertise nécessaires pour traiter rapidement une évaluation d'une drogue prioritaire sans aucun conflit d'intérêts.

45 c - Dr John Gill : Le traitement prioritaire a été mis sur pied pour permettre à des agents qui peuvent offrir de nouveaux avantages thérapeutiques d'être évalués sans délai et rapidement. Les abus sont toujours possibles (mes propres termes et ma propre interprétation puisque chaque société croit ou déclare croire que son produit offre de nouveaux avantages, etc.) Le principal élément à l'appui du principe du traitement prioritaire découle de la conviction que le traitement standard est trop lent.

47 - Merck Frosst souligne qu'en décembre 1996, le directeur général de la Direction des médicaments a énoncé des recommandations pour que le statut d'évaluation prioritaire soit accordé à la présentation d'une drogue :

- pour le traitement d'une maladie ou d'une condition grave, fatale ou débilitante de façon sévère pour lesquelles il existe des preuves cliniques considérables qui le médicament offre un traitement, une prévention ou un diagnostic efficace d'une maladie ou d'une condition pour lesquels aucun médicament n'est présentement commercialisé au Canada;
- ou une efficacité considérablement améliorée ou une diminution du risque par rapport aux thérapies existantes;
- produits préventifs ou agents diagnostics pour le traitement d'une maladie ou d'une condition qui n'est pas gérée adéquatement par un médicament sur le marché au Canada.

Sur cinq drogues présentées par Merck Frosst, deux ont reçu le statut d'évaluation prioritaire.
Suggestions :

1. Le processus d'octroi du statut prioritaire devrait être plus transparent;
2. Une amélioration générale de l'efficience du système d'approbation permettrait de réduire le nombre des évaluations prioritaires, et ce processus pourrait alors se limiter aux cas appropriés;
3. Afin de réduire les risques inhérents à l'approbation accélérée, on devrait mettre l'accent sur l'élaboration d'instruments de post-commercialisation.

48 - L'Association canadienne pour la thérapeutique des populations n'a pas été témoin de l'efficacité du système de traitement prioritaire.
La politique de la DGPS ne semble pas dotée de critères d'évaluation qui établiraient un profil des risques et des avantages pour un médicament, ce qui permettrait d'établir un parallèle avec d'autres médicaments pour le traitement prioritaire.
L'augmentation prévue du fardeau réglementaire pour l'ajout de « nouvelles indications » (annonce de la politique le 18 février 1997) semble pousser la DGPS vers un dilemme opérationnel qui pourrait affaiblir le système d'évaluation.

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques cite en exemple le cas d'une drogue prioritaire dont l'évaluation accélérée, après 180 jours, n'est toujours pas terminée même s'il n'existe aucune autre thérapie au Canada.
Elle suggère que la DGPS examine attentivement la possibilité de collaborer avec des agences semblables aux États-Unis et en Europe afin d'accélérer les évaluations.

65 - Les comités fédéraux, provinciaux et territoriaux sur les questions pharmaceutiques ne répondent pas directement aux six questions. Il faut noter que cette réponse est paraphée par deux personnes, dont une a répondu à la plupart des questions, sauf la présente question et la question 1 (voir les ministères provinciaux de la Santé (Nouvelle-Écosse) au numéro 42, ci-dessus).

Question 3

Croyez-vous que le public bénéficie d'un accès juste, raisonnable et rapide aux renseignements sur les présentations de médicaments ainsi que sur l'innocuité et l'efficacité de ceux-ci? Dans le cas contraire, quels sont les changements qui s'imposent selon vous?

7 - L'AMC est d'avis que l'accès du public aux renseignements concernant les présentations de nouveaux médicaments et les questions d'efficacité et d'innocuité est restreint. Les renseignements sur les présentations de nouveaux médicaments devraient être rendus publics (annonce dans les journaux ou les publications d'intérêt général – p. ex., encart canadien dans les *Consumer Reports*).

9 - Le Conseil canadien des intervenants en matière de thérapie est d'avis que le public n'a aucun accès aux renseignements concernant les présentations de médicaments. La FDA, par contraste, tient des audiences publiques sur de telles présentations, et les délibérations et les évaluations auxquelles ces audiences mènent, incluant les commentaires de membres du comité, sont consignées dans les archives publiques.
La quantité et la qualité des renseignements ne sont pas suffisantes.
Les données fournies après la commercialisation ne sont que superficielles (selon moi). La DGPS devrait réitérer son engagement à cet égard, notamment en allouant des ressources suffisantes à la réalisation de ces travaux (dans ce contexte, le mot « travaux » fait référence au programme suivant la commercialisation).

10 - La Société canadienne du cancer n'est pas au courant de faits qui pourraient contribuer à répondre à cette question, hormis quelques éléments anecdotiques isolés. Elle ne dispose pas de l'information nécessaire pour répondre aux questions 1 et 3.

11 - L'Association canadienne du diabète pense que les renseignements concernant la présentation de médicaments doivent demeurer confidentiels jusqu'à ce qu'un avis de conformité soit délivré. Ce n'est qu'à ce moment que les consommateurs apprennent l'existence de nouveaux médicaments et que l'information appropriée qui est destinée aux consommateurs est diffusée. Tout retard excessif dans le processus d'évaluation pourrait compromettre le concept d'un « accès juste, raisonnable et rapide aux renseignements ».
Il faut normaliser tous les renseignements disponibles sur un nouveau médicament et les rendre accessibles à tous les consommateurs.

12 - La Société canadienne du SIDA ne croit pas que le public bénéficie d'un véritable accès aux renseignements concernant les présentations de médicaments.

Même les sociétés pharmaceutiques éprouvent des difficultés à déterminer où en est le traitement des médicaments, ce qui tranche avec l'approche d'une tribune ouverte qu'a adoptée la FDA (transparence).
Il existe des monographies sur les produits qui sont offertes aux consommateurs (ce que je mets en doute...), mais la SCS pense que les renseignements devraient être disponibles sous diverses formes.
En ce qui concerne le suivi plus rigoureux des médicaments après leur approbation, j'interprète cette proposition comme un programme plus solide après la commercialisation.

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques croit qu'il n'est pas justifié de diffuser des renseignements sur les médicaments génériques approuvés. De tels renseignements ne lui semblent pas d'une grande valeur, dans la mesure où les mêmes renseignements sur l'innocuité et l'efficacité sont disponibles pour les médicaments équivalents associés à des marques de commerce, approuvés pour leur part une douzaine d'années plus tôt.

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux est d'avis que cette question est connexe à la deuxième, relative aux évaluations de médicaments prioritaires, pour laquelle elle n'avait aucun commentaire à formuler. La transparence est l'aspect où il y a le plus matière à amélioration. Entre autres avantages, la transparence démythifierait le processus, de telle sorte que les intervenants seraient au courant de son fonctionnement, de la façon dont les frais sont calculés, des principes mis en application et des raisons pour lesquelles ce processus est équitable. D'autres exemples des avantages de la transparence sont donnés.

15 - Association canadienne des soins de santé – aucun commentaire.

16 - L'Association canadienne des aliments de santé est d'avis que ce n'est pas le cas, si, par « public », on entend l'utilisateur final du produit.

- D'autres commentaires sont donnés concernant l'opinion que les monographies sur les médicaments qui sont offertes sont difficiles à comprendre et soulèvent des craintes. Les renseignements doivent être conviviaux et présentés sous une forme claire, cohérente et facile à saisir;
- Selon d'autres commentaires, les renseignements fournis aux consommateurs sont formulés de manière à laisser croire que « le gouvernement couche dans le même lit que celui de l'industrie pharmaceutique », ce qui n'inspire pas confiance dans les médicaments utilisés;
- Les renseignements devraient être élaborés par des experts indépendants, en mesure de remettre un ensemble de données objectives aux consommateurs.

17 - Coalition nationale pour la santé – aucune réponse directe.

18 - Société canadienne de l'hémophilie – aucune réponse directe.

21 - L'Association des pharmaciens du Canada fait remarquer que cette question comporte deux volets : l'un sur l'accès aux renseignements concernant les présentations de médicaments; l'autre sur l'accès aux renseignements concernant les médicaments en soi.
L'accès aux renseignements sur les présentations n'est offert qu'après l'approbation des médicaments; il est donc difficile d'apporter des commentaires sur l'équité et le reste.
L'APC publie le *Compendium des produits et spécialités pharmaceutiques*, basé sur les monographies des produits. On suggère au PTT d'organiser une autre réunion avec l'AMC, les associations de consommateurs, l'APC et des associations représentant des personnes atteintes de maladies spécifiques, afin de discuter des processus de rationalisation des renseignements destinés aux patients.

23 - De l'avis de l'Association canadienne de santé publique, cette question ne se pose pas. Le rapport final du Groupe consultatif national sur la gestion des risques par rapport aux bienfaits des médicaments a déjà cerné ce besoin et formulé des recommandations sur l'inventaire et la diffusion des renseignements destinés aux consommateurs, aux professionnels de la santé et aux « experts ».

25 - L'association des Canadiens pour la recherche médicale croit que le public ne reçoit aucun renseignement de la DGPS concernant les présentations de médicaments ou l'innocuité et l'efficacité de ceux-ci. De son côté, la FDA des É.-U. identifie les médicaments faisant l'objet d'une évaluation, fournit des renseignements approfondis sur les médicaments récemment approuvés ainsi que, croit cette association, sur les médicaments rejetés. La diffusion de tels renseignements au Canada atténuerait l'opinion du public selon laquelle la DGPS fonctionne dans le plus grand secret.
Cette association est également consternée face au silence de Santé Canada par rapport aux allégations très graves qui ont été formulées dans la presse. Une réaction de la sorte contribue à éroder davantage la confiance publique en la DGPS.

28 - L'Association des consommateurs du Canada croit que les questions 2 et 3 peuvent faire l'objet d'une seule réponse:

- L'établissement d'un système ouvert, transparent et responsable, qui tiendrait compte des aspects d'ordre social et éthique, améliorerait le processus des évaluations de médicaments prioritaires, tout en augmentant l'accès du public aux renseignements sur les présentations de médicaments et sur l'innocuité et l'efficacité de ceux-ci (ajout à la question 2);

- Un système ouvert et transparent doit donner la possibilité au public de s'exprimer dès le départ. Il doit également prévoir des mécanismes permettant aux consommateurs de se plaindre;
- L'évaluation des médicaments devrait d'abord se fonder sur la nécessité du médicament en question, et non forcément sur la demande. L'un des critères orientant le choix des priorités à cet égard consisterait à considérer l'avantage du médicament par rapport à ses qualités thérapeutiques et non par rapport à sa capacité d'améliorer des fonctions normales. Il importe aussi de considérer le coût des médicaments pour les consommateurs (ajout à la question 2).

30 d - La FDA a fait de grands efforts pour mieux atteindre le public, comme le recommandait la *Food and Drug Modernization Act*. Elle encourage la participation des citoyens en organisant des réunions publiques et en diffusant de l'information sur Internet (http://www.fda.gov/).

31 - La réponse du Groupe provincial de l'industrie du médicament, du Québec, est positive. Le Groupe fait part de ses préoccupations concernant le rôle du gouvernement et se demande si les médias sont une source d'information crédible. Les sociétés pharmaceutiques devraient peut-être annoncer elles-mêmes l'approbation de leurs produits.

32 - La Fondation des maladies du coeur du Canada apporte des commentaires sur des principes (voir la question 6).

33 - Le *Medical Reform Group* émet un « NON » retentissant. Cette réponse s'applique autant aux professionnels de la santé. Les données sur l'innocuité et l'efficacité qui sont présentées par les sociétés pharmaceutiques sont considérées comme si elles appartenaient à celles-ci et ne sont donc diffusées qu'avec leur permission. L'accès aux renseignements n'a été possible qu'après 21 mois - alors que le délai maximal était de 30 jours - et n'a consisté qu'en 5 pages d'une étude de 300 pages - toutes les données étant effacées.

- Notre système devrait imiter celui qui existe aux États-Unis, où les sociétés ne peuvent empêcher la diffusion des renseignements sur la santé et l'innocuité et où les réponses aux demandes d'information sont habituellement reçues dans les 10 jours ouvrables;
- Il faudrait faire nôtre l'approche américaine en ce qui concerne les comités consultatifs, lesquels permettent l'expression de l'opinion publique dès le départ. (En général, les comités d'experts canadiens ne considèrent pas les médicaments isolément - ils ne sont pas ouverts, et leurs procès-verbaux sont vagues, évacuant la plupart des discussions importantes qui ont eu lieu).

36 - L'Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre croit que le public serait mieux servi si l'on considérait la possibilité de faire de la publicité directe sur les médicaments

délivrés sur ordonnance. Elle suggère que le gouvernement fasse connaître au plus grand nombre ses sites Web, le *Bulletin canadien sur les effets indésirables des médicaments*, les *Lettres de renseignements* de la DGPS, les alertes, les avertissements et les communiqués de presse. **L'association presse le Conseil consultatif des sciences de recommander au Ministre que le Canada ne révèle pas les dates auxquelles les présentations sont faites, à l'instar d'autres gouvernements adoptant des pratiques similaires.**
En ce qui concerne l'innocuité et l'efficacité des médicament, des données sur l'innocuité sont publiées sur l'étiquette des médicaments en vente libre. Des renseignements similaires sur les médicaments délivrés sur ordonnance sont offerts par les professionnels de la santé.

38 - La Fondation canadienne du Parkinson est d'avis que le grand public ne connaît pas bien le processus d'évaluation des médicaments ou les exigences requises. On observe des confusions sur le rôle des organismes de réglementation, des médecins et de l'industrie pharmaceutique. Des exemples sont cités : retrait de médicaments du marché, tandis qu'aucune déclaration publique n'est faite aux patients et à leurs familles, tentant de communiquer avec leur neurologue sur la façon de cesser de prendre les médicaments en question, etc. Il faut donner davantage de directives.

40 - Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés cite le programme d'accès spécial du PPT sur les présentations de nouveaux médicaments faisant l'objet d'une évaluation. La disponibilité de ces renseignements serait utile au CEPMB afin de surveiller le statut relatif aux brevets des nouveaux médicaments.

- On suggère d'utiliser Internet comme source d'information sur les thérapies qui sont offertes au Canada, ou qui le seront. On a également proposé la rédaction d'un court résumé sur les critères d'approbation des nouveaux produits, à l'instar de ce qui se fait aux États-Unis avec le FDA Disclosure (communication de la FDA);
- Ce résumé devrait être accessible au public, tout comme les motifs ayant le plus orienté l'évaluation. Tous les faits scientifiques ayant concouru à l'approbation devraient aussi être accessibles au public. (Il s'agit également d'une réponse partielle à la question 2, concernant les évaluations de médicaments prioritaires.)

41 - L'Association canadienne de l'industrie du médicament **n'est pas**, d'un point de vue général, en faveur de la diffusion de renseignements au public sans le consentement préalable de la société qui fait la promotion du médicament. L'ACIM suggère les options suivantes :

- Les demandes concernant le traitement d'un médicament particulier devraient être transmises à la société qui en fait la promotion, qui, à son tour, pourrait fournir les renseignements demandés ou donner les raisons de son refus de le faire (les renseignements appartiennent à la société en question et non au PPT);

- La société pourrait, par écrit, donner son accord au PPT pour que des renseignements sur la totalité ou une partie des dates liées aux présentations soient fournis;
- Le PPT pourrait étudier la valeur des audiences publiques tenues par la FDA avant l'approbation des médicaments, lorsque les conclusions des décideurs de la FDA et de leurs experts-conseils sont ouvertement contestées par rapport à des présentations précises, et lorsque de tels comités sont mis sur pied;
- Le PPT pourrait envisager de rendre accessibles au public les comptes rendus des réunions du Comité consultatif d'experts du PPT;
- Il faut insister sur le fait que des monographies sur les produits sont offertes.

42 - Un ministère provincial de la Santé (Nouvelle-Écosse) croit que, même si les renseignements étaient disponibles, la plupart des citoyens ne le sauraient pas. Le processus d'évaluation des médicaments demeure très mystérieux aux yeux du public.

45 a - Le Dr Holbrook pense que la réponse globale à cette question s'apparente à un « **non** » catégorique. Le public a le droit de savoir. La DGPS doit mettre en place un programme d'accès aux renseignements qui soit plus ouvert, plus responsable et mieux rationalisé - ce qui est réalisable dans le monde informatisé que nous connaissons aujourd'hui. (Il est possible que seuls la réserve, la résidence, la confiance et d'autres éléments caractéristiques aient empêché que le gouvernement ne fasse l'objet de poursuites inattendues.)

45 b - Dr Noni MacDonald : C'est le domaine où le besoin d'une mise à jour se fait le plus sentir. Elle suggère des mesures actives de surveillance après la commercialisation, et ce, pour tous les médicaments, ainsi qu'une étude approfondie des effets secondaires graves par un comité d'examen indépendant. Les renseignements ainsi obtenus pourraient ensuite être diffusés, de façon ouverte ou non.

45 c - Dr John Gill : Jusqu'à ce jour, le public n'a pas eu accès aux renseignements qu'il fallait concernant les présentations de médicaments, ou il ne l'a pas eu rapidement. La date des présentations, les demandes de précisions et l'état d'avancement des travaux devraient être plus largement diffusés auprès de toutes les parties intéressées. Dans le cas d'un médicament controversé, une évaluation finale et détaillée devrait être réalisée dans le cadre d'une tribune ouverte. Ce n'est qu'avec une grande transparence que le processus d'évaluation d'un médicament de la sorte pourra être complété.

47 - Merck Frosst apporte trois commentaires :

1) Les monographies sur les produits offertes aux médecins et les feuillets insérés dans chaque emballage de médicament devraient fournir tous les renseignements requis pour une utilisation sécuritaire des médicaments;
2) Les lois et règlements actuellement en vigueur rendent difficile l'accès aux renseignements concernant les présentations de médicaments. Les demandes pour de tels renseignements se heurtent à une forte résistance de l'industrie, en raison des risques liés à la communication de renseignements privés et confidentiels. On a l'impression que le système actuel n'est utilisé que pour gagner une longueur d'avance sur la concurrence;
3) La société pharmaceutique suggère que les renseignements servent d'abord à prouver la transparence du processus d'approbation, p. ex., les raisons pour lesquelles le médicament est approuvé, les vérifications effectuées par d'autres experts du milieu, etc.

48 - L'Association canadienne pour la thérapeutique des populations a surtout deux commentaires à formuler :

1) Les renseignements sur les médicaments actuellement utilisés dans les essais cliniques sont lacunaires. L'information communiquée dans les publications et sur Internet devraient permettre à la DGPS d'inclure davantage de tels renseignements;
2) Il serait très avantageux pour le public que la DGPS publie les résultats de ses examens et des renseignements mis à jour sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments, à mesure que des renseignements de la sorte deviennent disponibles durant la mise en marché des médicaments. Le *Bulletin canadien sur les effets indésirables des médicaments* est la seule publication en ce sens. Des publications similaires produites par des organismes de réglementation sont offertes dans plusieurs pays, dont le R.-U., l'Australie et la Suède.

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques fait part de trois commentaires :

1) L'état d'avancement du processus d'évaluation devrait et pourrait être beaucoup plus transparent;
2) Il est difficile d'obtenir des renseignements sur le traitement des présentations. Il arrive souvent que davantage de renseignements puissent être obtenus de la société produisant le médicament en question qu'auprès de l'organisme qui effectue l'évaluation à partir de fonds publics;
3) La diffusion de renseignements sur les présentations de médicaments ainsi que des mises à jour régulières sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments devraient être faites par le truchement de divers médias, notamment le site Web de Santé Canada.

56 - Le Comité fédéral-provincial-territorial des questions thérapeutiques ne répond pas directement aux six questions. Prière de noter que cette réponse est signée par deux personnes, dont l'une a

déjà répondu à la plupart des questions - voir « un ministère provincial de la Santé (Nouvelle-Écosse) », au numéro 42 ci-dessus.

Question 4

Est-ce que Santé Canada devrait maintenir ses efforts d'harmonisation et de coopération avec les organismes de réglementation des gouvernements étrangers dans le processus d'évaluation des médicaments? Si oui, sous quelles conditions?

7 - L'AMC appuie le concept d'harmonisation internationale des processus de présentation, à la condition que les produits fassent l'objet d'une évaluation indépendante par les autorités canadiennes et, idéalement, par un comité consultatif de médecins, à la fin du processus et avant que ne soit délivré un avis de conformité.

9 - Le Conseil canadien des intervenants en matière de thérapie croit qu'une harmonisation et une coopération accrues avec d'autres pays devraient contribuer à réduire le temps consacré à la préparation et à l'évaluation des présentations. Il suggère également que la DGPS enquête avec plus de zèle sur les solutions novatrices de l'heure - p. ex., en tentant de savoir comment certains pays, comme la Suède et l'Australie, s'y prennent pour accélérer le processus d'évaluation.

10 - La Société canadienne du cancer formule un certain nombre de commentaires :

- L'harmonisation et la coopération ont du sens, dans la mesure où, notamment, elles empêcheraient que l'évaluation des renseignements déjà examinés par des organismes de réglementation fédéraux d'autres pays ne soit faite en double;
- Afin que la DGPS puisse harmoniser ses activités avec celles menées dans d'autres pays, il faudrait mettre en place une forme quelconque d'accréditation permettant d'attester de l'homogénéité des différents processus d'évaluation, en termes de profondeur et d'ampleur. Les pratiques de fabrication sont l'un des domaines pour lesquels différents pays pourraient adopter une optique commune;
- Les efforts d'harmonisation pourraient fournir l'occasion à la DGPS de prendre les devants dans la conception d'un modèle général d'évaluation des médicaments que partageraient plusieurs pays désireux de participer à ce processus multinational. Chaque pays pourrait personnaliser sa propre méthode d'évaluation d'un médicament quelconque en intégrant ce lot de renseignements communs.

11 - L'Association canadienne du diabète est en faveur de l'harmonisation et de la coopération avec d'autres organismes de réglementation, mais souligne que, à l'heure actuelle, le processus d'évaluation n'est pas harmonisé au Canada même et que chaque nouveau médicament fait l'objet d'une évaluation indépendante par Santé Canada:

- L'ACD est également d'avis que tous les pays devraient recevoir les mêmes renseignements sur les présentations de nouveaux médicaments - on en tirerait comme avantage une meilleure efficacité dans la coopération et le partage d'information relative aux demandes de renseignements sur les présentations. Puisque le processus d'évaluation canadien semble plus lent que les autres, il faudrait doter le pays des mécanismes nécessaires à la garantie d'une réponse livrée de manière efficace et respectueuse des délais et, pour ce faire, allouer les ressources appropriées en quantité suffisante;
- Le Canada devrait reconnaître l'expertise sur laquelle se sont déjà appuyés les pays qui, les premiers, ont accordé leur approbation au lancement d'un nouveau médicament particulier.

12 - La Société canadienne du SIDA appuie les efforts d'harmonisation et de coopération avec les organismes de réglementation étrangers.

- La SCS rappelle que le Canada participe déjà depuis plusieurs années, en tant qu'observateur, à la Conférence internationale sur l'harmonisation (CIH), laquelle explore les moyens par lesquels harmoniser le processus d'évaluation des médicaments à l'échelle internationale;
- Elle propose que l'on continue de travailler dans certains domaines :
  1) Mise sur pied de davantage de comités d'examen mixtes avec d'autres organismes de réglementation;
  2) Abolition de notre propre système d'évaluation des médicaments et adhésion à un système international. (Citation tirée de *Timeliness and Transparency: Assessing the Review Process for HIV Drugs*, rapport datant de novembre 1998 et annexé à la réponse.)

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques : « [Traduction] Oui, Santé Canada devrait se préparer à accepter les résultats des évaluations réalisées par d'autres pays en fonction des mêmes normes, et commencer à acquérir une expertise dans des domaines où les différences entre les normes d'évaluation peuvent être clairement justifiées sur le plan scientifique».

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux donne son accord à la poursuite des efforts d'harmonisation. Santé Canada DOIT cependant s'assurer que les autres organismes fonctionnent en vertu de principes similaires aux siens, avec efficacité et respect de l'éthique. Le

Ministère doit aussi veiller à ce que les résultats obtenus par ces organismes soient d'une qualité supérieure et contribuent à réduire les risques sur la santé des Canadiens et des Canadiennes.

15 - Association canadienne des soins de santé : « L'ACSS est d'avis que la poursuite des efforts d'harmonisation de Santé Canada avec d'autres pays ne doit pas entraîner une baisse des normes régissant actuellement le processus de gestion des risques de la DGPS.

16 - L'Association canadienne des aliments de santé est en faveur de l'harmonisation «en autant qu'elle soit bénéfique à l'utilisateur final, c.-à-d. le consommateur... Si la recherche est effectuée ou examinée par d'autres organismes de réglementation suivant des normes de santé et de sécurité similaires à celles en vigueur au Canada, elle devrait être reconnue. »

17 - Coalition nationale pour la santé – aucune réponse directe.

18 - Société canadienne de l'hémophilie – aucune réponse directe.

21 - L'Association des pharmaciens du Canada conclut qu'elle est en faveur de l'harmonisation et fait remarquer que le Canada doit entièrement appuyer les efforts en ce sens, notamment la Conférence internationale sur l'harmonisation. (*Cette déclaration pourrait-elle être associée aux commentaires de la Société canadienne du SIDA (12) et du Medical Reform Group (33) selon lesquels le Canada est un* ***observateur*** *à la CIH?*)

23 - L'Association canadienne de santé publique appuie les efforts d'harmonisation et de coopération avec les organismes de réglementation étrangers:

- S'il y a garantie d'un gain d'efficacité, les efforts de coopération doivent être maintenus. Les Canadiens et Canadiennes doivent avoir davantage confiance dans les fabricants, la qualité des ingrédients, les processus de contrôle de la qualité et le processus d'évaluation réglementaire utilisé;
- L'ACSP est contre le relâchement des normes régissant l'innocuité des produits dont bénéficient les Canadiens et les Canadiennes aujourd'hui.

25 - L'association des Canadiens pour la recherche médicale est favorable au concept d'harmonisation, mais n'est pas en mesure d'avancer des suggestions quant aux conditions. Elle soulève que certains cas pourraient exiger que les essais cliniques soient effectués au Canada.

28 - L'Association des consommateurs du Canada est très prudente face au concept d'harmonisation pour différentes raisons :

- La garantie d'une qualité harmonisée s'obtient généralement avec le plus bas dénominateur commun;
- L'harmonisation pourrait entraîner des approbations involontaires et appliquées en vertu de l'ALENA et d'autres accords commerciaux;
- Le Canada n'est encore qu'un observateur aux actuelles négociations de la Conférence internationale sur l'harmonisation – les principaux participants étant les É.-U., l'U.E., le Japon et des sociétés pharmaceutiques multinationales établies dans ces pays. Cette représentation n'est pas équitable et semble favoriser les projets de l'industrie plutôt que l'intérêt des consommateurs.
- Les consommateurs insistent pour que la priorité soit accordée aux questions de sécurité et d'efficacité et que les questions relatives à la commercialisation soient reléguées au second plan.

30 d - La FDA apporte les commentaires suivants sur l'harmonisation :

- La DGPS représente une déléguée importante à la Conférence internationale sur l'harmonisation (CIH).
- La FDA voit le processus d'examen mixte établi entre le Canada et les É.-U. comme une mesure de collaboration très précieuse, efficiente et efficace, pour les deux pays.
- La FDA et la DGPS appuient de concert les efforts de l'OMS visant à établir des normes, à mettre au point des réactifs et à fournir des conseils techniques, etc., en ce qui a trait aux médicaments et aux vaccins, à l'innocuité des produits sanguins et aux biotechnologies. De tels efforts de coopération sont mutuellement bénéfiques à la préservation des ressources.

31 - Le Groupe provincial de l'industrie du médicament, du Québec, est en faveur de l'harmonisation et recommande une approche globale en vertu de laquelle les pays plus petits (Norvège, Australie, Nouvelle-Zélande, Suisse - tous des pays dotés de normes élevées comme le Canada) pourraient créer et conserver des centres d'excellence reconnus à l'échelle internationale pour leur expertise dans un domaine particulier. Quel que soit le pays d'où proviendrait la présentation d'un médicament, celle-ci pourrait, à des fins d'évaluation, être envoyée au pays qui s'est spécialisé dans un domaine particulier . Les résultats de l'évaluation devraient ensuite être acceptés.

32 - La Fondation des maladies du coeur du Canada apporte des commentaires sur des principes (voir la question 6).

33 - Le Medical Reform Group rappelle que la Conférence internationale sur l'harmonisation (CIH), à laquelle participe le Canada en tant qu'observateur, n'est dirigée que par des organismes de réglementation des É.-U., de l'U.E., du Japon et de sociétés pharmaceutiques multinationales. En sont exclus : les sociétés fabriquant des médicaments génériques, les associations de consommateurs, les professionnels de la santé et les organismes de réglementation des pays en développement. L'objectif de la CIH est d'accélérer l'approbation des médicaments, et non de tenter d'améliorer l'innocuité ou de consacrer des ressources à la mise au point de nouvelles thérapies originales. Le MRG s'inquiète du risque que l'harmonisation ne mène à l'acceptation du plus bas dénominateur commun sur les plans de l'innocuité et de l'efficacité.

36 - L'Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre accorde son appui à l'harmonisation tant que celle-ci résultera, en bout de ligne, par une approbation plus rapide des présentations. Elle rappelle que le Canada participe à la Conférence internationale sur l'harmonisation en tant qu'observateur.

- Elle s'inquiète de l'attention que la CIH axe sur les substances chimiques aux dépens des médicaments en vente libre. Elle recommande que le Canada fasse adopter des normes de présentation internationales pour les médicaments dont le statut change de médicament délivré sur ordonnance à celui de médicament en vente libre ainsi que pour les médicaments mis au point pour le marché en vente libre. Il serait préférable de faire nôtres les normes américaines ou européennes à cet égard, plutôt que de concevoir une méthode de présentation canadienne;
- Le Canada devrait procéder à l'« attestation » des organismes de réglementation dont on pense que le processus d'évaluation équivaut à celui du Canada. La mise sur le marché canadien des médicaments en vente libre commercialisés dans ces pays serait permise sans que soit nécessaire le processus d'approbation précédant la commercialisation.

38 - La Fondation canadienne du Parkinson est favorable à l'harmonisation. La DGPS pourrait envisager l'adoption de certaines règles appliquées à l'étranger afin d'accélérer le processus canadien d'évaluation des médicaments.

40 - Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés – aucun commentaire.

41 - L'Association canadienne de l'industrie du médicament appuie les efforts d'harmonisation et fait remarquer que le Canada continue d'appliquer des critères différents de ceux des autres pays lors de l'approbation des médicaments.

- Le Canada a lié des accords à long terme avec la Suède, l'Australie et le R.-U. pour le partage des rapports d'évaluation sur de nouveaux médicaments. Le PPT soutient que ces rapports ne peuvent remplacer, ni aider, le processus actuel d'évaluation des

présentations afin de l'accélérer, et que le rôle précis des rapports d'évaluation du rendement est inconnu;

- L'ACIM encourage l'établissement d'accords de reconnaissance mutuelle (ARM) avec un ou plusieurs pays concernés afin d'éviter que des sociétés faisant la promotion de leurs produits au Canada aient à faire examiner de nouveau l'ensemble de leurs données déjà évaluées et jugées par un ou plusieurs autres organismes de réglementation;
- Le recours à des ARM peut être bénéfique – exemple de celui du Canada et des États-Unis de 1998, dont l'adoption est imminente, qui traite des évaluations de la conformité et de l'attestation de bonnes pratiques de fabrication chez les fabricants.

42 - Un ministère provincial de la Santé (Nouvelle-Écosse) appuie les efforts d'harmonisation, mais précise que les normes actuelles ne devraient pas être abaissées.

45a - Le Dr Holbrook est en faveur de l'harmonisation en autant que les principes actuels soient préservés. L'inquiétude du milieu universitaire réside dans le risque que les seuils fixés pour l'approbation ne soient abaissés au niveau du plus bas dénominateur commun, plutôt que d'être maintenus à un niveau élevé de sécurité et de santé pour tous. Elle se préoccupe également de la possibilité que les processus internationaux ne nuisent aux pays en développement qui ne disposeraient pas de suffisamment de ressources pour assurer eux-mêmes l'évaluation adéquate des médicaments.

45 b - Le Dr Noni MacDonald souhaite que les efforts d'harmonisation et de coopération avec des organismes de réglementation se poursuivent dans la prudence - il importe d'être circonspect face à toutes les activités d'harmonisation relevant du système de soins de santé du Canada, qui diffère de ceux d'autres pays comme les É.-U., le R.-U., des pays européens et le Japon. Des études ultérieures à la commercialisation doivent être entreprises auprès des Canadiens et des Canadiennes, sur les plans de l'innocuité (réactions négatives à certains médicaments) et de l'efficacité; il souligne également, à propos de l'harmonisation, que les populations dans lesquelles ont lieu les essais cliniques sont différentes génétiquement. Il favorise, dans la mesure du possible, une plus grande uniformisation des exigences relatives aux écrits administratifs afin de réduire les délais.

45 c - Le Dr John Gill croit que, en principe, il faut procéder à l'harmonisation des évaluations. Le processus de reconnaissance du Canada de médicaments approuvés ailleurs ne devrait pas être automatique, ni obligatoire. L'approbation des procédés de fabrication pourrait être harmonisée avec celle des autres pays.

47 - Merck Frosst appuie indirectement l'harmonisation en demandant au Canada de rehausser ses processus d'évaluation et d'approbation en fonction des normes internationales que suivent actuellement les É.-U. et des pays européens. De plus, la société pharmaceutique presse le

gouvernement de finaliser et de mettre complètement en oeuvre les accords de reconnaissance mutuelle (ARM) liés avec ses principaux partenaires commerciaux. L'organisme canadien de réglementation devrait devenir un partenaire important d'autres organismes pairs, et leur exporter son savoir et son expertise tout en profitant des leurs.

48 – L'Association canadienne pour la thérapeutique des populations est favorable à l'harmonisation, mais note que la DGPS doit demeurer indépendante et reconnaître ainsi que l'objectif premier consiste à assurer le bien-être des Canadiens et des Canadiennes et à offrir de meilleurs traitements médicaux. La DGPS ne devrait pas suivre à l'aveuglette le chemin ouvert par d'autres. L'ACTP donne comme exemple la proposition actuelle pour l'établissement d'un nouveau modèle d'homologation au Canada (*Cadre d'homologation des produits III*, PPT), qui tente d'intégrer certains des principes des exigences en matière de données acceptées dans le cadre de la Conférence internationale sur l'harmonisation (CIH). Cependant, note-t-elle, les exigences proposées pour les évaluations des fabricants après la commercialisation imposeront un lourd fardeau à la DGPS et aux fabricants touchés sur le plan de la réglementation, et, à la connaissance de l'ACTP, feront du Canada le seul pays associant de telles exigences au processus d'homologation. L'ACTP croit que les projets d'harmonisation devraient être évalués en fonction de faits scientifiques plutôt que de bonnes trouvailles administratives. (Le Dr Appel, qui a répondu au nom de l'ACTP, cite sa propre publication : Appel, W.C. « Harmonization in regulatory pharmacovigilance: impracticalities and scientific irrationality », *Pharmacoepidemiology and Drug Safety*, 1998; 7 : 359-361).

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques appuie l'harmonisation à la condition que la santé et la sécurité des Canadiens et des Canadiennes, d'une importance primordiale, ne soient pas compromises.

56 - Le Comité fédéral-provincial-territorial des questions thérapeutiques ne répond pas directement aux six questions. Prière de noter que cette réponse est signée par deux personnes, dont l'une a déjà répondu à la plupart des questions - voir « un ministère provincial de la Santé (Nouvelle-Écosse) », au numéro 42 ci-dessus.

Question 5

Certains intervenants ont exprimé des inquiétudes au sujet de l'imposition de droits et de l'influence sur l'évaluation des drogues que cette démarche pourrait engendrer. Éprouvez-vous ce genre d'inquiétudes? Le cas échéant, que peut-on faire pour les soulager?

7 - L'AMC appuie, en principe, le recouvrement des coûts et fait valoir les points suivants :

- Le processus doit être transparent et indépendant de l'industrie;
- Les procédures de recouvrement des coûts ne doivent pas faire obstacle aux nouveaux produits pharmaceutiques potentiellement efficaces ou à l'approbation de nouvelles utilisations pour les médicaments existants;
- L'apparence de conflit d'intérêt suscite certaines inquiétudes. Il faudrait, pour les soulager, mettre en commun les droits imposés aux fabricants qui font des présentations et éviter tout lien entre le paiement des droits et les délais d'évaluation, autrement dit faire en sorte que les transactions soient autonomes;
- Si une entreprise n'a pas les moyens de verser les droits, il faudrait prévoir un mécanisme d'évaluation pour les médicaments dits « orphelins ».

9 - Selon le Conseil canadien des intervenants en matière de thérapies :

- Il n'existe rien aucun incitatif économique pour encourager la DGPS à accélérer l'examen des présentations ou à approuver des subventions;
- Les droits imposés ne sont aucunement liés au rendement de l'organisme de réglementation;
- Les droits ont l'avantage de transférer la responsabilité des coûts du contribuable aux entreprises pharmaceutiques;
- Rien n'indique que le fait d'imposer des droits aux promoteurs puisse se traduire par un processus d'évaluation des médicaments mieux adapté aux besoins des fabricants de produits pharmaceutiques.

10 - La Société canadienne du cancer se dit préoccupée des risques inhérents au recouvrement des coûts.

- La perception de frais d'utilisation engendre le risque que l'intervenant qui paye ces frais puisse influencer le processus;
- Entre autres effets négatifs, l'imposition de droits peut donner lieu à des situations où les médicaments perçus comme étant moins profitables courent le risque de ne jamais passer par ce processus. Pourtant, certaines drogues ou autres matériels réussissent à améliorer efficacement la santé tout en étant très bon marché;
- Le fait de percevoir des droits directement destinés à la DGPS est susceptible d'engendrer une évaluation préférentielle des drogues et des matériels dispendieux;

- Il est probable que l'imposition de droits aura une influence sur les écarts qui existent entre les médicaments pour lesquels le processus est très coûteux et ceux pour lesquels le processus est considérablement moins coûteux ou auxquels on n'impose aucun frais d'utilisation;
- Il serait préférable d'imposer des droits à tout le monde ou de les éliminer complètement.

11 - L'Association canadienne du diabète fait un certain nombre de commentaires qui ne semblent pas appuyer les frais d'utilisation (recouvrement des coûts).

- Elle comprend que la perception de droits est une démarche indépendante du processus d'évaluation des drogues; que les évaluateurs n'ont rien à voir avec le processus de perception et que les droits pour l'évaluation d'une drogue doivent être versés, quelle que soit l'issue de l'exercice;
- Le problème ne provient pas de l'imposition de droits en tant que telle, mais plutôt du fait que les lignes directrices et les délais prescrits ne sont pas toujours respectés. Ce manque de régularité peut sans doute faire croire au public que le montant déboursé influencera la rapidité ou les résultats du processus;
- Le paiement demandé appartient essentiellement à la catégorie des « frais de service ». Il importe donc de projeter l'image d'un service constant et satisfaisant. Le paiement de droits doit signifier que les « bonnes » ressources sont en place pour effectuer une évaluation « crédible » dans des « délais » spécifiques. Il convient donc d'établir un cadre de reddition de comptes et d'en surveiller l'efficacité.

12 - La Société canadienne du SIDA ne trouve pas l'imposition de droits particulièrement préoccupante, mais elle fait tout de même quelques commentaires :

- Les droits perçus doivent servir au nouveau processus d'évaluation des drogues et ne pas être transférés aux dépenses générales en fin d'exercice;
- Le problème provient du manque de ressources pour financer les activités du PPT. Les importantes compressions budgétaires ont eu un effet adverse sur la capacité du personnel de la DGPS de respecter les délais internes et d'améliorer l'efficacité du processus d'évaluation des drogues;
- Le programme de recouvrement des coûts mis sur pied pour récupérer les fonds perdus à cause des compressions budgétaires n'est pas parvenu à générer suffisamment de ressources pour permettre de suivre la cadence de la charge de travail;
- À cause des procédures de comptabilité désuètes, les sommes accumulées grâce aux mesures de recouvrement ne peuvent pas être comptabilisées dans les recettes générales en fin d'exercice, ce qui réduit encore plus les ressources disponibles pour l'évaluation des drogues.

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques n'appuie PAS le recouvrement des coûts:

- Parce que l'organisme de réglementation n'a absolument pas besoin de rechercher les faveurs de l'industrie puisque les droits imposés visent à compenser les dépenses subies et non à satisfaire le promoteur;
- Ce qui est réellement inquiétant, c'est que le processus d'approbation n'est pas tenu de rendre des comptes relativement aux objectifs de rendement établis pour l'évaluation;
- Le processus d'imposition de droits peut à la fois servir de «carotte» et de «bâton» pour améliorer et accroître la qualité des évaluations.

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux ne « s'inquiète tellement pas de la mise en place d'une politique de recouvrement des coûts puisqu'il est normal que ceux qui profiteront financièrement de la vente des produits payent pour s'assurer que les produits sont sécuritaires et efficaces. »

- Le recouvrement des coûts peut inciter les fabricants à adopter la bonne attitude dès le départ, ce qui permettrait à Santé Canada, et en fin de compte aux contribuables, d'économiser du temps et des ressources;
- Les préoccupations proviennent surtout des pressions exercées sur les évaluateurs;
- Il faut établir tout à fait clairement que le mandat de la DGPS consiste à protéger la santé et la sécurité des Canadiens.

15 - L'Association canadienne des soins de santé soulève deux questions connexes mais distinctes concernant l'imposition de droits pour le processus d'évaluation des drogues :

1) La nécessité d'avoir un financement adéquat. Redonner à la DGPS la capacité de mener des enquêtes scientifiques indépendantes et réduire la nécessité de se fier sur l'information fournie par les scientifiques de l'industrie. Les autres commentaires incluent le besoin de rétablir la recherche scientifique interne nécessitant des installations de laboratoire et d'engager des chercheurs. Le manque de fonds compromet l'indépendance apparente de la DGPS. En tout, on consacre 5 paragraphes à la question d'un financement adéquat;
2) Le besoin d'expertise interne. Ce besoin fait lui aussi l'objet de cinq paragraphes. On y cite des extraits du rapport Krever à l'appui du besoin d'une science indépendante et l'ACSS y incite Santé Canada à rétablir le calibre de science interne nécessaire pour se tenir à jour dans le domaine du développement technologique et pour garder le contrôle sur l'intégrité et la qualité de cette science.

16 - L'Association canadiennes des aliments de santé fait valoir, dans un commentaire d'ordre philosophique, qu'il convient de définir clairement le sens des expressions « bien public » et « bien privé ». L'évaluation des drogues qui sauvent des vies, etc...semble être un exercice axé sur le « bien public » et, par conséquent, ne concorde PAS (majuscules ajoutées) avec la philosophie qui consiste à ne payer que pour des services qui contribuent au « bien privé ». Les inspections annuelles et le renouvellement des licences de fabrication des médicaments sont réputés être axés sur le « bien privé », mais l'évaluation des drogues semble s'inscrire dans le domaine du « bien public ».

17 - Coalition canadienne de la santé – aucune réaction directe.

18 - Société canadienne de l'hémophilie – aucune réaction directe.

21 - L'Association des pharmaciens du Canada n'éprouve aucune inquiétude quant au recouvrement des coûts puisqu'elle a pris part aux consultations sur le sujet. L'Association est consciente des questions soulevées et laisse entendre qu'il importe, pour aborder ces questions, de mieux sensibiliser le public relativement aux principes scientifiques sur lesquels le processus d'évaluation est basé.

23 - Selon l'Association canadienne de santé publique :

- Si l'évaluation des drogues a pour but de protéger le public contre les drogues dangereuses ou qui n'ont pas été mise à l'essai, la notion de droits d'utilisation semble incongrue puisque c'est le public canadien qui est le client et non l'industrie;
- Si le processus d'approbation des drogues ne vise pas seulement à protéger le public, mais à procurer le « sceau d'approbation du Canada » aux produits de l'industrie, celle-ci devrait payer des droits proportionnels aux profits qu'elle tirera de la vente de ses produits;
- Le public canadien est en droit de comprendre la fonction du processus d'évaluation des drogues et doit approuver le programme de même que ses politiques et ses processus.

25 - Les Canadiens pour la recherche médicale approuvent le recouvrement des coûts étant donné qu'il s'agit d'une pratique courante à l'étranger et ils estiment que le recouvrement des coûts n'influence pas le processus d'évaluation des drogues:

- On croit que le public n'appuie pas le recouvrement des coûts à cause des affirmations faites par des personnes qui ont déjà travaillé ou travaillent encore pour la DGPS. Santé Canada n'a pas abordé efficacement ces questions et il ne semble pas qu'on puisse calmer ces inquiétudes;

- On propose d'examiner la question à fond, particulièrement du point de vue économique.

28 - L'Association des consommateurs du Canada n'appuie pas le recouvrement des coûts et déclare que les consommateurs font moins confiance à la DGPS en tant qu'organisme mandaté de protéger la santé publique. Les exemples cités, notamment le scandale du sang contaminé, les articles dans les médias documentant les pressions exercées par certains pour obtenir leur approbation - entre autres la gestion de l'approbation ou du refus de la Stbr - ont contribué à mettre en relief l'incapacité du Ministère de remplir son mandat.

- Le financement complet et le rétablissement de la capacité de recherche interne sont des éléments clés pour reconquérir la confiance du public;
- Tous les droits perçus doivent être retournés aux recettes générales et ne devraient jamais être considérés comme une source de revenu ministériel ou comme un indicateur de rendement efficace;
- Les dirigeants aux échelons les plus élevés doivent être réellement convaincus que c'est le public, et non l'industrie, qui constitue leur « clientèle » et que les membres du public ne partagent pas l'optique de l'industrie quant à la gestion du risque et son rôle fondamental dans l'évaluation des drogues;
- Il est peut-être possible, en imposant une nouvelle taxe à l'industrie, d'établir un fonds qui permettrait d'offrir une compensation lorsque des problèmes imprévus surviennent dans le processus d'évaluation d'un produit, d'une drogue ou d'un dispositif. Cette taxe pourrait également servir à établir des mécanismes indépendants (c.-à-d. sans faire appel à ceux qui sont susceptibles de profiter, directement ou indirectement, des activités) en vue d'instaurer une surveillance à long terme et d'élaborer des renseignements pour les consommateurs, y compris des prospectus clairs et compréhensibles.

30 d - La FDA estime qu'il convient certainement de surveiller la question de l'influence sur le processus d'évaluation des drogues pouvant découler de l'imposition de droits. Cependant, l'expérience de la FDA n'a révélé aucun phénomène de ce genre.

31 - GPIM – Ce groupe québécois de fabricants de produits pharmaceutiques croît que le recouvrement des coûts ne peut influencer que la rapidité du processus d'évaluation et non le résultat. Cependant, le groupe fait remarquer que la façon dont on a géré la perception publique du recouvrement des coûts laisse grandement à désirer.

32 - La Fondation des maladies du coeur du Canada fait des commentaires sur les principes à la question 6.

33 - Le Medical Reform Group n'appuie pas le recouvrement des coûts :

- Si l'industrie défraye les coûts, le public croira, à tort ou à raison, qu'elle exerce une influence sur le processus;
- Il importe d'examiner en profondeur la question des droits d'utilisation;
- Le Medical Reform Group termine ainsi : « le système d'approbation a pour but de servir le public, ainsi, dans l'esprit de ce principe, il devrait être financé comme un service public par le système fiscal ».

36 - L'Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre s'inquiète de la perception du public selon laquelle le paiement de droits permet d'influencer le processus et les résultats de l'évaluation des drogues.

- Elle explique ses raisons pour conclure que le recouvrement des coûts, loin de permettre à l'industrie d'influencer le processus, ne fait qu'ajouter des coûts superflus qui sont transférés aux consommateurs;
- Elle cite l'expérience des États-Unis, où l'on verse les droits directement à l'organisme chargé d'évaluer les drogues en vue d'augmenter les ressources du processus d'évaluation, tandis qu'au Canada, le recouvrement des coûts remplace les crédits gouvernementaux, ce qui ne produit aucune augmentation des ressources;
- Elle laisse entendre que la perception de droits au Canada ne devrait avoir lieu que lorsqu'on aura fourni au processus les fonds nécessaires et, même alors, seulement pour accroître les ressources en vue de raccourcir les délais et ainsi permettre aux Canadiens de bénéficier plus rapidement des nouvelles thérapies.

38 - La Fondation canadienne du Parkinson fait les commentaires suivants : l'imposition de droits pour le processus d'évaluation des drogues est un exercice dont le potentiel de malentendus et d'appréciation fautive est trop élevé. Certains pourraient croire que le processus favorisera injustement les groupes qui payent les droits les plus élevés. Tous les coûts doivent donc être normalisés à un taux équitable pour affranchir le processus d'évaluation et d'approbation.

40 - Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés n'éprouve aucune inquiétude.

41 - L'Association canadienne de l'industrie du médicament est très offusquée des allégations contenue dans la (votre) question sur l'imposition de droits pour l'évaluation des drogues.

- Rien ne porte à croire que l'un ou l'autre des éléments du recouvrement des coûts permette d'influencer les décideurs;
- Le recouvrement des coûts s'est soldé par une baisse de rendement du PPT;
- L'ACIM n'est pas disposée à défendre ou à s'opposer à l'imposition de droits;

- L'ACIM participe à l'examen de la politique actuelle et de son application mandaté dans le cadre de la phase IV du recouvrement des coûts et continuera de veiller à la bonne marche du système;
- L'ACIM s'inquiète avant tout des allégations non fondées que personne ne conteste et du fait que les entreprises membres de l'ACIM soient forcées de justifier le recouvrement des coûts alors que le PPT semble incapable de le faire.

42 - Les ministères de la Santé provinciaux (Nouvelle-Écosse) estiment que Santé Canada doit fournir un **financement de base** adéquat pour assurer la qualité de l'examen scientifique des nouvelles drogues.

- Le financement de base doit garantir qu'un nombre suffisant de chercheurs sont en poste au moment opportun et qu'ils ont accès aux ressources nécessaires pour effectuer les examens;
- Sans s'opposer à l'imposition de droit, les ministères précisent qu'il n'est pas réaliste de viser le recouvrement des coûts à 100 p. 100.
- Il importe d'informer l'industrie de ce qu'elle est en droit de s'attendre en échange de l'argent versé;
- Il pourrait être nécessaire d'élaborer clairement les attentes de l'industrie pour faire en sorte qu'on ne puisse pas influencer le processus d'évaluation des drogues.

45 a - D^re^ Holbrook signale que l'imposition de droits pour l'évaluation des drogues est une grande source de préoccupation. Si la majeure partie du financement pour le processus d'approbation des drogues provient de l'industrie, la perception de partialité sera inévitable. La meilleure façon de contrer cette perception consiste à instaurer un processus ouvert, transparent et rigoureux doté d'un mécanisme de vérification et d'une participation externe.

- Elle signale également que les contribuables ne s'attendent pas à ce que l'industrie défraie l'ensemble des coûts du processus d'approbation des drogues, mais qu'il pourrait être raisonnable de lui demander de payer des droits substantiels pour avoir accès au marché et à son énorme potentiel de profits. De surcroît, nombreux sont ceux qui estiment que la structure des droits devrait prévoir des pénalités pour les entreprises qui présentent des dossiers mal organisés, incomplets ou, pire encore, trompeurs.

45 b - D^re^ Noni MacDonald croit que le fait d'imposer des droits peut bel et bien engendrer une influence sur le processus d'évaluation des médicaments. Les entreprises réalisent des profits grâce aux produits examinés et approuvés, elles font de l'argent sur ces produits et payent des taxes. Dans le cas des drogues « orphelines », le fait de payer une somme supplémentaire rend la démarche moins attrayante pour les fabricants. Il nous incombe de trouver un juste milieu dans cette lutte entre le besoin de recouvrer les coûts et le droit du public d'avoir rapidement accès à des médicaments approuvés.

45 c - Le Dr John Gill soutient le recouvrement des coûts et, selon lui, les droits d'utilisation ne créent aucun conflit d'intérêt.

47 - Merck Frosst accepte le concept de l'imposition des droits, qui a d'ailleurs été adopté dans d'autres sphères de compétences, et estime non seulement que le paiement d'un droit n'engendre pas d'influence sur le processus, mais laisse entendre qu'un bon dosage de soutien de la part du gouvernement et de l'industrie pharmaceutique peut aider l'organisme de réglementation à devenir plus autonome.

- Merck Frosst craint que les droits perçus pour l'évaluation des drogues n'aient pas été consacrés à soutenir les activités liées à ce processus. La perception de droits ne s'est pas traduite par une accélération ou une amélioration du processus d'évaluation des drogues. On n'a encore apporté aucun changement aux règlements en vue d'instituer une appréciation continue de la qualité du processus d'évaluation, de réduire le barème des droits exigibles ou de lier officiellement le paiement d'un droit à une amélioration des délais d'exécution des services;
- Merck Frosst abonde dans le sens de l'analyse des droits d'utilisation effectuée par la Business Coalition on Cost Recovery, dont un exemplaire est joint à la lettre de réponse.

48 – L'Association canadienne pour la thérapeutique des populations ne soulève aucune objection contre les droits d'utilisation pour le processus d'évaluation des drogues. Cependant, ces montants ne doivent pas seulement servir fournir des fonds supplémentaires aux recettes générales, mais bien à améliorer le processus. De plus, il faut, d'une part, veiller à ce que l'ensemble du processus soit ouvert et publié et, d'autre part, garantir aux industries touchées qu'elles bénéficieront d'un service convenable en retour de l'argent versé.

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques n'est pas en mesure de faire des commentaires.

56 - Les Comités fédéraux, provinciaux et territoriaux sur les questions pharmaceutiques n'ont pas répondu directement aux six questions. Veuillez noter que cette réponse est signée par deux personnes dont une a répondu à la plupart des questions. Voir ministères de la Santé provinciaux (Nouvelle-Écosse) au numéro 42 ci-dessus.

Question 6

Sur quels principes le processus d'évaluation des médicaments doit-il reposer?

7 - L'AMC a déclaré publiquement qu'elle appuyait le Rapport Gagnon:

- d'importants aspects du Rapport Gagnon n'ont pas encore été mis en oeuvre;
- lacunes de la Surveillance après commercialisation (SAC); on estimait auparavant que la SAP comprendrait les aspects innocuité des médicaments nouveaux. Il n'en a pas été ainsi. Une solution serait de reconfier cet aspect à l'industrie et de lui faire assumer la responsabilité de l'obtention de cette information;
- La SAC devrait être axée tant sur l'efficacité que sur les effets défavorables;
- L'AMC a annexé une copie de la lettre qu'elle a fait tenir le 8 juin 1993 au SM de Santé Canada. Voici ses trois observations sur le Rapport Gagnon :
  a) L'AMC convient de l'orientation générale du rapport et, de façon plus précise, met en relief l'importance accordée par le Dr Gagnon à la SAC;
  b) L'AMC désire insister sur la nécessité de prévoir des activités additionnelles dans les programmes de SAC au Canada, particulièrement si d'autres mesures recommandant une surveillance réduite avant la commercialisation sont adoptées;
  c) L'AMC est disposée à participer à la mise en oeuvre d'une SAC améliorée et à la coordination de tout nouveau programme avec les systèmes existants de SAC au Canada.

9 - Comité canadien aviseur sur l'accès aux traitements :

- Les Canadiens devraient avoir accès, en temps opportun, à des médicaments dont l'innocuité et l'efficacité ont été établies;
- Le processus d'examen des présentations de drogues nouvelles devrait être plus ouvert - un processus qui est transparent et dont on puisse rendre compte;
- Le processus d'approbation des médicaments devrait comprendre toute surveillance active après l'approbation à laquelle seraient incorporés les composantes suivantes :
  1) la collecte, l'analyse et l'interprétation permanentes et systématiques des effets défavorables, de la toxicité, des interactions médicamenteuses, ainsi que de l'efficacité à long terme des médicaments suivant l'approbation de la commercialisation;
  2) l'utilisation de ces données dans la prise de décisions sur l'innocuité et les indications cliniques d'un médicament;
  3) la diffusion, en temps opportun, des données à tous les intervenants;
  4) les systèmes de rapport prescrits;

5) la participation de la collectivité, des personnes vivant avec le VIH, des chercheurs, de l'industrie pharmaceutique et des dispensateurs de soins de santé dans tous les aspects des composantes ci-dessus.

- L'équation risque par opposition à avantage devrait être considérée d'une façon qu'il soit possible d'en arriver à un équilibre approprié et qui tienne compte des valeurs des Canadiens.

  Le Comité canadien aviseur sur l'accès aux traitements a également annexé deux rapports : un rapport de 36 pages, ainsi que les annexes A à F, intitulé « *Timeliness and Transparency" - Assessing the Review of Process for HIV Drugs* », novembre 1998, et un deuxième rapport de six pages intitulé « *Consultation Workshop on Approuva on Ne Drags in Canada*", 12 août 1998.

10 - La Société canadienne du cancer a formulé les trois recommandations suivantes :

- Premièrement, que la DGPS délimite clairement son mandat. La DGPS a-t-elle le mandat de trouver des avantages autres que l'innocuité pour approuver des médicaments ou des matériels? Si elle n'assume pas la fonction d'évaluation des avantages, établit-elle un lien avec l'organisation qui l'assume effectivement? La Société canadienne du cancer affirme qu'elle est d'avis qu'un seul organisme fédéral devrait coordonner la protection de la santé du public en ce qui concerne les médicaments et les matériels et que cette tâche ne devrait pas être confiée à d'autres paliers de gouvernement;
- Deuxièmement, le processus de la DGPS devrait être plus transparent. Cette transparence permettra une participation plus directe du public au processus d'évaluation et pourrait assurer une diffusion plus vaste de l'information concernant le bien-fondé des médicaments ou des matériels;
- Troisièmement, la DGPS devrait assumer une fonction d'ombudsman. À l'heure actuelle, la seule façon que la DGPS peut évaluer un médicament ou un matériel, c'est si l'industrie soumet une présentation. Il pourrait y avoir un nouveau traitement qui est généralement considéré comme constituant une importante percée mais qui est retardé du fait qu'une société multinationale concentre ses énergies ailleurs afin de tenter de faire approuver son produit dans un autre pays; un bureau de l'ombudsman pourrait constituer un moyen permettant au public de s'adresser directement à la DGPS.

11 - L'Association canadienne du diabète estime que le processus devrait reposer sur les principes suivants :

- Réceptivité - nouveaux traitements qui peuvent influer de façon positive sur la santé des Canadiens
- Accessibilité - s'assurer que les Canadiens ont accès, en temps opportun, aux nouvelles thérapies comme l'ont les citoyens de par le monde

- Gestion des risques et des avantages - dans le cas des nouvelles thérapies où il n'en existe présentement pas, un degré additionnel de risque pourrait être acceptable.

12 - La Société canadienne du SIDA estime que le mandat primaire de la DGPS et du processus d'évaluation des médicaments devrait être la mise en oeuvre et la surveillance de l'innocuité et de l'efficacité des médicaments au Canada, et ce, de façon opportune et transparente. La Société a aussi fait part de ses observations sur la disponibilité, l'efficacité réduite et les effets secondaires des agents antiviraux et d'autres médicaments utilisés seuls ou en association avec d'autres médicaments pour traiter les patients vivant avec le VIH/sida. La Société canadienne du SIDA a également soumis trois documents :

- Énoncé de position : Réforme du mécanisme d'autorisation des médicaments de la Direction générale de la protection de la santé, septembre 1998 et contexte de l'énoncé de position
- Mise à jour du Rapport d'intervention : Réforme du mécanisme d'autorisation des médicaments de la Direction générale de la protection de la santé, septembre 1998. Parmi les questions abordées, il convient de mentionner les suivantes : efficience, transparence, responsabilité, et les prochaines mesures à prendre.
- Un rapport de 36 pages intitulé«*Timeliness and Transparency" - Assessing the Review of Process for HIV Drags*», novembre 1998, ainsi que les annexes A à F. Il s'agit du même rapport que celui soumis par le Comité canadien aviseur sur l'accès aux traitements au numéro 9 ci-dessus.

13 - L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques est d'avis que les principes devraient comprendre les éléments suivants :

- l'harmonisation en ce qui concerne les normes et les critères d'approbation;
- lorsque l'harmonisation est impossible, une efficacité accrue dans l'application des ressources;
- l'application de saines pratiques de gestion dans l'exploitation des centres appliquant le principe de la neutralité des coûts;
- l'obligation de rendre compte aux intervenants et aux promoteurs des soumissions de la qualité et de l'opportunité de l'évaluation;
- la transparence relativement à l'élaboration et à l'application des politiques;
- l'application d'un raisonnement scientifique rigoureux plutôt que le respect aveugle des lignes directrices dans le processus d'évaluation lorsque celles-ci sont conflictuelles.

L'Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques a également annexé deux appendices. Ceux-ci traitent des points de discussion reliés à l'innocuité et à l'efficacité, des points de discussion reliés à la chimie et à la fabrication, des points de discussion reliés à l'examen préliminaire. Elle a aussi annexé trois graphiques documentés : « périodes de maintien » - Depuis la fin de l'examen préliminaire jusqu'au début de l'examen de la chimie et

de la fabrication Depuis le 1er janvier 1998; un deuxième graphique : « périodes de maintien » - Depuis la fin de l'examen préliminaire jusqu'au début de l'examen de l'innocuité et de l'efficacité Depuis le 1er janvier 1998. Le troisième graphique fait état des présentations pour examen préliminaire déposées et examinées depuis le 1er janvier 1998.

14 - La Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux proposent les principes suivants :

- la transparence à l'égard de tous les intervenants;
- l'absence de toute ingérence politique active;
- l'équité d'accès au processus pour toutes les présentations de drogues;
- une innocuité accrue pour le consommateur grâce à un risque réduit au minimum;
- l'actualité des aspects scientifiques et cliniques des médicaments.

15 - L'Association canadienne des soins de santé croit qu'un certain nombre de principes devraient être compris; ces principes sont résumés dans les deux paragraphes qui suivent :

- La protection de la sécurité des Canadiens devrait constituer le principe obligatoire de la DGPS. De façon plus précise, cela signifie que le maintien et l'amélioration de la santé des Canadiens devraient l'emporter sur les questions industrielles, économiques et commerciales;
- Les principes guidant le processus d'évaluation des médicaments devraient favoriser l'utilisation de renseignements scientifiques dans la prise de décisions, assurer l'adoption d'une approche juste, équitable et transparente, et aborder les questions de responsabilisation et de responsabilité.

16 - L'Association canadienne des soins de santé : honnêteté, intégrité, transparence et efficience, le but ultime étant d'offrir les médicaments les meilleurs et les plus sûrs au public canadien dans les délais les plus raisonnables.

17 - National Health Coalition – aucune réponse directe.

18 - La Société canadienne de l'hémophilie - aucune réponse directe. Voici un résumé des observations et des préoccupations :

- Manque de transparence relativement aux présentations de drogues et à l'innocuité et à l'efficacité des médicaments;
- La décision qu'un produit fabriqué à partir de sang provenant d'un donneur atteint de la MCJ est sûr sans pouvoir ou vouloir partager les données avec « nous »;
- Appuie plusieurs recommandations (non précisées) de la Commission Krever, mais insiste sur le principe de « la sûreté avant tout »;

- Une copie de la correspondance avec la DGPS en février, en mars et en avril 1999 concernant la question du donneur de sang atteint de la MCJ du Utah figure également en annexe.

21 - L'Association des pharmaciens du Canada est d'avis que les principes qui suivent doivent sous-tendre le processus d'approbation des médicaments :

- innocuité, équité, efficience, rentabilité, transparence et responsabilisation.

23 - Selon l'Association canadienne de santé publique, les principes présentés dans le document du PPT intitulé « Cadre stratégique pour 1998-2001 » semblent être complets et logiques. Pour la planification et les opérations à venir, il serait peut-être bon de passer en revue les principes énoncés.

25 - L'organisme Les Canadiens pour la recherche médicale a formulé les observations suivantes :

- Il incombe à la DGPS d'assurer qu'un produit est sûr et efficace, et ce, en se basant sur un jugement purement scientifique;
- Les décisions concernant l'utilisation d'un produit doivent être confiées au marché.

28 - L'Association des consommateurs du Canada a formulé les observations suivantes :

- Le processus d'évaluation des médicaments doit reposer sur les principes de l'opportunité, de l'efficience et de l'efficacité, mais l'importance doit être accordée au besoin médical et à l'innocuité;
- Le processus doit devenir un système ouvert et transparent avec la possibilité, tôt au début du processus, de prévoir l'apport du public - et avoir en place des mécanismes pour assurer la participation du public;
- Le financement du processus devrait provenir des recettes générales où les frais à verser pour les licences devraient être déposés; aucun lien entre les frais des licences et l'approbation - réel ou perçu - ne doit être toléré;
- Le processus doit ne faire l'objet d'aucune pression financière ou politique afin que ses responsables puissent être objectifs et agir dans les meilleurs intérêts du public;
- Le processus décisionnel doit reposer sur des données scientifiques.

30 d - La *FDA*

- La rigueur scientifique, l'intégrité et l'uniformité sont essentielles à la réussite de l'évaluation;
- Voici la conclusion la plus importante tirée l'année dernière par un comité d'examen externe de la *FDA* :

> Selon le consensus dégagé au sein de notre Comité d'examen, si notre industrie veut obtenir des examens réglementaires appropriés et prompts, et si l'on veut

que l'organisme de réglementation ait la capacité de donner suite aux besoins urgents, il est on ne peut plus important que les scientifiques disposent de moyens de recherche à la fine pointe de la technologie qui leur permettent non seulement de comprendre l'évolution rapide des méthodologies d'évaluation des vaccins et des produits biologiques, mais également d'interagir avec leurs collègues de l'industrie sur une base spécialisée, scientifique et technologique afin que les recommandations pertinentes puissent être formulées.

- La *FDA* est en train de mettre en oeuvre cette recommandation.

31 - Le GPIM – le groupement de fabricants de produits pharmaceutiques situé au Québec - estime que les principes comprenaient les suivants : (nota - il s'agit de mon interprétation qui pourrait ne pas être exacte.)

- L'analyse des risques connus doit reposer sur des données scientifique;
- Il arrive souvent qu'une interprétation trop poussée reflète une activité scientifique purement canadienne (?)
- Le processus doit être transparent à toutes les étapes;
- Il doit y avoir équité face au public et à l'industrie;
- Un réduction du budget du PPT pourrait indiquer que le gouvernement attache peu d'importance aux travaux du PPT, y compris le processus d'évaluation des médicaments.

32 - La Fondation des maladies du coeur du Canada cite l'exemple suivant : Récemment, la DGPS a approuvé le TPA à des fins d'utilisation chez certains cas d'accident vasculaire cérébral. La Fondation avait examiné le processus de près. Le processus d'approbation des médicaments semble être très opaque et la première fois que la Fondation a pris connaissance de l'approbation a été lors d'un appel des médias et à une conférence de presse tenue par le fabricant pour annoncer son lancement. La Fondation aurait aimé être informée à l'avance de l'approbation afin de tenir sa propre conférence de presse pour tracer, pour le public, les grandes lignes des signes précoces d'un accident vasculaire cérébral, de la façon d'entrer dans le système d'urgence immédiatement (dans un délai de trois heures), ainsi que de la façon dont le système de santé doit se réorganiser pour satisfaire les nouvelles réalités d'un médicament nécessitant, avant son administration, un examen tomodensitométrique et d'excellents services neurologiques. La Fondation des maladies du coeur est un organisme que le public écoute et en qui il a confiance et son message aurait pu s'avérer important pour réduire les délais. En utilisant cet exemple, la Fondation met de l'avant les principes suivants à des fins d'examen :

1) Le Canada doit maintenir un processus d'approbation des médicaments reposant sur des données probantes. Le processus doit reposer sur l'innocuité, l'efficacité et la qualité;

2) La santé et la sécurité des Canadiens doivent constituer les critères les plus importants pour l'évaluation et l'amélioration des produits thérapeutiques;
3) Tous les efforts possibles doivent être déployés pour accélérer le processus d'approbation des médicaments. Une façon peut-être serait de travailler en collaboration avec les É-U. au fur et à mesure que les frontières entre nos pays deviennent plus perméables. Un processus d'examen conjoint É.-U.-Canada et l'approbation simultanée des médicaments pourraient se révéler fort utiles pour les Canadiens en termes d'accès en temps opportun à de nouveaux produits thérapeutiques;
4) Le processus d'évaluation des médicaments doit être plus transparent et les organismes d'évaluation de l'extérieur doivent être connus du public;
5) La surveillance après commercialisation est nécessaire pour assurer qu'une fois qu'un médicament est approuvé et retiré d'un environnement d'études randomisées et contrôlées pour passer au « monde réel », son efficacité est surveillée et un système est en place pour prévoir, si besoin est, des rappels;
6) Le financement du processus d'évaluation des médicaments est une dépense légitime pour l'industrie, et ce facteur ne devrait influer ou n'influerait effectivement d'aucune façon sur le processus. Il ne doit pas s'agir d'une fonction de production de recettes pour le gouvernement, mais plutôt permettre de supporter tous les coûts légitimes de l'évaluation des médicaments;
7) Il y aurait lieu de prévoir une plus grande part d'inclusivité de l'intéressé dans le processus d'évaluation des médicaments effectif (p. ex., à l'interne à Santé Canada, au Laboratoire de lutte contre la maladie, etc., et à l'externe aux organismes sans but lucratif, aux associations professionnelles et aux membres du public potentiels).

33 - Le *Medical Reform Group* est d'avis que les principes du processus d'évaluation des médicaments sont incorporés dans les réponses aux cinq premières questions :
1) L'importance à accorder au besoin médical dans l'approbation des médicaments nouveaux;
2) Un système qui maximise le rapport coûts-avantages des médicaments;
3) Un engagement vis-à-vis de la transparence et de l'apport significatif du public;
4) Le financement du système en tant que service public par le truchement des dollars des contribuables;

36 - L'Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre estime que pour prévoir un processus d'évaluation des médicaments qui est efficient et efficace, celui-ci doit reposer sur les principes suivants :

- L'examen en temps opportun des médicaments, ce qui permet d'améliorer la santé et la qualité de vie des Canadiens. Les temps d'évaluation des médicaments doivent être réalistes et compétitifs à l'échelle internationale;
- L'adoption d'une approche axée sur la science pour le processus d'évaluation;
- L'application de l'évaluation et de la gestion des avantages et des risques. Les produits présentant un risque équivalent doivent être réglementés de façon uniforme;
- La nécessité de prévoir l'équité et l'uniformité du processus d'évaluation.
- L'adoption d'un dialogue ouvert entre l'industrie et Santé Canada au cours du processus d'évaluation des médicaments.
- La transparence dans le processus d'évaluation des médicaments par le truchement de la publication de normes relatives aux éléments probants à des fins d'évaluation.

38 - La Fondation canadienne du Parkinson affirme qu'il y a très peu à redire des principes régissant actuellement le processus d'évaluation des médicaments (p. ex., l'innocuité) au Canada.

- Peut-être la DGPS pourrait-elle s'efforcer de se prévaloir de la richesse d'expertise médicale qu'il existe au pays pour l'aider et la guider dans son évaluation et son processus décisionnel;
- La Fondation cite en exemple le médicament Tolcapone/Tasmar où aucun des neurologues de renommée internationale oeuvrant dans le domaine des troubles du mouvement et exerçant au Canada n'a été consulté avant la décision de la DGPS de discontinuer l'utilisation par ordonnance de cet agent antiparkinsonien. Deux de ces médecins ont été nommés officiers de l'Ordre du Canada pour leur contribution à la spécialité (le Dr Ali Rajput et le Dr Donald Calne), et un autre est un chercheur et clinicien de renommée mondiale, le Dr Anthony Lang.

40 - Le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés propose ce qui suit :

- Les décisions d'approuver de nouveaux médicaments doivent continuer de reposer sur de bonnes données scientifiques;
- Le processus d'évaluation devrait être plus transparent; l'information concernant la justification de la recommandation de l'approbation et les données sur lesquelles repose l'approbation doivent être rendues disponibles (au public);
- Le processus d'évaluation doit être efficient; le double emploi des efforts devrait, dans la mesure du possible, être réduit au minimum;
- Les responsables du processus doivent pouvoir en rendre compte au public, tant sur le plan de la qualité que sur celui de l'opportunité de l'évaluation; pour ce faire, il faudra prévoir plus de renseignements concernant le processus d'évaluation.

41 - Selon l'Association canadienne de l'industrie du médicament, les plus importants principes sont les suivants :

- la protection du public par la détermination, l'évaluation et la gestion des avantages et des risques pour la santé associés aux médicaments;
- la prise de décisions en fonction des meilleures données scientifiques disponibles.

L'ACIM fait remarquer que d'autres principes guidant le processus d'évaluation des médicaments sont déjà en place dans l'énoncé de mission du PPT. Les principes sont le fruit de nombreux examens de la mission et des mandats du PPT effectués au cours des 13 dernières années. Il y aurait lieu de les respecter, particulièrement dans la mesure où ils sont reliés aux concepts d'opportunité. Il y aussi l'idée, qui prend d'ailleurs de l'ampleur, selon laquelle le PPT - un organisme scientifique reposant sur des faits, devrait, dans le cadre de l'évaluation des présentations, commencer à appliquer les principes de la rentabilité et de l'évaluation thérapeutique comparative aux produits dont l'évaluation de l'innocuité et de l'efficacité lui est confiée. Ce secteur relève, à juste titre, du fournisseur ultime une fois que les produits sont approuvés. Il ne s'agit pas d'un rôle approprié du PPT ou de la DGPS.

42 - Les ministères provinciaux de la Santé (Nouvelle-Écosse) n'ont pas d'observations à formuler au sujet de la question 6.

45 a - Le Dr Holbrook recommande la rigueur scientifique, la transparence et l'attention primaire à la bonne santé.

45 b - Le Dr Noni MacDonald estime que le processus d'évaluation des médicaments devrait comprendre les éléments suivants :

1) L'importance à accorder à la qualité de l'examen scientifique;
2) Le fait de prévoir suffisamment de temps pour effectuer une évaluation de qualité supérieure;
3) Le fait de fonctionner de façon autonome de sorte à éviter tout conflit d'intérêt dans le processus d'évaluation;
4) L'ouverture de l'évaluation et la transparence de tout résultat;
5) L'accès du public à de l'information sur l'innocuité des médicaments qui est facile à interpréter;
6) Le fait de prévoir un processus de réévaluation obligatoire advenant de graves effets défavorables après la commercialisation;
7) La reconnaissance du caractère unique du système de prestation de soins de santé au Canada et la responsabilité d'assurer le plus grand bien de la population dans toute prise de décision;
8) Un équilibre entre les besoins en matière de recouvrement des coûts et les besoins de la société en ce qui concerne le produit (il peut y avoir des catégories spéciales où le versement de droits peut ne pas constituer la meilleure solution);

9) Une plus grande importance à accorder à la nécessité de soumettre une présentation de produit nouveau (de manière que) les besoins en matière de médicaments des nourrissons et des enfants, des femmes adultes et des personnes âgées soient abordés comme il se doit. (Une trop grande part de l'information sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments a été axée sur les jeunes sujets de sexe masculin et il existe donc peu ou point d'information sur la façon dont le médicament pourrait être utilisé chez ces autres populations.);

10) En ce qui concerne l'étendue et la complexité de l'expertise à la DGPS, nous devons absolument, en tant que Canadiens, nous assurer qu'un plus grand nombre de cadres supérieurs ont suffisamment d'expertise médicale pour nous guider minutieusement dans les secteurs conflictuelles. Trop souvent, l'expertise technique s'est trouvée à des échelons trop inférieurs de la chaîne décisionnelle. « Cette situation m'inquiète énormément. »

45 c - Le Dr John Gill fait remarquer que le processus d'évaluation devrait se pencher sur des produits sûrs et efficaces. Les responsables du processus devraient avoir la capacité d'accélérer les examens et d'approuver certains nouveaux agents pour lesquels un avis de conformité conditionnel (ACC) a été délivré, pour ensuite ordonner, en vertu de la loi, un suivi pour les produits visés par un ACC autorisés tôt au cours de leur cycle de développement à des fins de commercialisation au Canada.

47 - Réponse de la société *Merck-Frosst*:

- Les règlements devraient assurer que les médicaments approuvés à des fins d'utilisation au Canada sont sûrs, efficaces et de qualité supérieure;
- Les lois canadiennes devraient assurer que les patients ont un accès rapide à des produits thérapeutiques nouveaux et novateurs et aux percées de la recherche médicale;
- L'examen des présentations et l'acceptation des produits thérapeutiques devraient reposer sur une évaluation scientifique des bienfaits pour le patient, tout en tenant compte des risques relatifs à encourir;
- Le processus d'évaluation et d'approbation devrait :
  a) reposer sur des données scientifiques objectives;
  b) être transparent tout en protégeant les renseignements exclusifs;
  c) être aisément compris par le grand public;
  d) être juste et équitable pour tous les intéressés.

Une collaboration plus fructueuse et plus souple entre l'industrie, le milieu universitaire et les agents de réglementation permettrait un meilleur apprentissage dans les secteurs des produits thérapeutiques connaissant une évolution rapide, ainsi que dans le secteur plus tangible de l'élaboration de médicaments nouveaux.

La société *Merck-Frosst* annexe également deux documents et plusieurs graphiques illustrant le concept de l'opportunité. Voici les titres des documents :

Drug Review In Canada: A Comparison with Australia, Sweden, the United Kingdom, and the United States, Rawson, Nigel S.B. et autres, Le Journal de l'information sur les médicaments, Vol. 32 pp.1133-1144, 1998, et *User Fees: Where Does the Buck Stop – A Study on Cost Recovery, January 1999*, disponible auprès de l'Alliance des manufacturiers et des exportateurs du Canada au (613) 238- 8888, poste 236 ou sur le site Web www.the-alliance.org

48 - La *Canadian Association for Population Therapeutics* a formulé les observations suivantes :

- Le processus d'évaluation des médicaments devrait s'inspirer des principes d'évaluation continue de l'équilibre entre les avantages et les risques des produits visés par l'évaluation. Ces principes devraient comprendre des critères définissables pour évaluer les risques, les avantages et la qualité des produits médicaux;
- L'objectif visé devrait être la prestation des meilleurs soins possibles au meilleur prix possible, ou, encore, l'optimalisation des avantages et la minimisation des risques au meilleur prix possible.
- À l'heure actuelle, au Canada, il existe une certaine confusion quant au processus d'évaluation des médicaments, au processus d'approbation des médicaments et à l'inscription aux formulaires de médicaments (formulaires provinciaux) que Santé Canada devrait dissiper au moyen d'une déclaration publique sur sa politique en matière de soins de santé. La déclaration devrait mentionner l'engagement de Santé Canada vis-à-vis du respect de rigoureux principes de santé publique et de son rôle en tant que défenseur de ces principes.

49 - La Société canadienne de la sclérose en plaques affirme que les principes directeurs devraient être les suivants :

- accès des Canadiens à des traitements pharmaceutiques éprouvés dans un délai semblable à celui prévu dans les pays ayant un niveau de développement économique et des systèmes de santé similaires;
- sécurité du processus d'évaluation afin de protéger la santé des Canadiens;
- transparence du processus à toutes les étapes;
- accès aisé du public à de l'information sur l'innocuité et l'efficacité des médicaments approuvés.

65 - Le Comité FPT des questions pharmaceutiques n'a pas répondu directement aux six questions. Veuillez noter que cette réponse est signée par deux personnes dont l'une a répondu à la

plupart des questions à l'exception de celle-ci (veuillez vous reporter au numéro 42 ci-dessus - Ministères provinciaux de la Santé (Nouvelle-Écosse).

Russ Graham
Le 25 juin 1999

Annexe C-1

COMITÉ SUR LE PROCESSUS D'ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS
Rapport
Observations et consultations
Washington, DC
Du 19 au 21 juillet 1999

1. Contexte

1.1 Le comité a été formé à la suite d'une décision en ce sens prise par le Conseil consultatif scientifique à sa réunion de mars 1999. Il est présidé par Doug Elliott et compte parmi ses membres Russ Graham, Jean Jones, Leslie Millin, Karen Semchuk ainsi que, en tant que conseiller, Bernard Schwetz. Son mandat est annexé.

1.2 Le comité a rapidement convenu d'examiner, dès que possible, le processus d'audiences publiques utilisé aux États-Unis par la *Food and Drug Administration*, puisque celui-ci est fréquemment cité au Canada comme une solution de rechange au processus auquel recourt la Direction générale de la protection de la santé de Santé Canada. Grâce à l'aide généreuse du Dr Schwetz, un programme combinant des activités d'observation en direct d'audiences publiques et des entrevues avec des membres clés du personnel de la FDA a été élaboré.

1.3 Le Dr Semchuk était dans l'incapacité de participer aux réunions, mais les autres membres ont participé à la totalité d'entre elles et ont assisté à certaines audiences publiques. Le Dr Schwetz a pris part à la plupart des réunions.

2. Audiences publiques

2.1 La tenue d'audiences publiques constitue sans doute la différence la plus marquante entre le processus d'évaluation des médicaments des États-Unis et celui du Canada. Aux États-Unis, en principe, chaque nouvelle demande d'homologation d'un médicament peut être sujette à un examen public au cours duquel le requérant (« promoteur », selon la terminologie de la FDA) défend sa demande. Un comité consultatif dont les membres sont nommés par la FDA questionneront ensuite le requérant, parfois avec le concours d'experts externes. Enfin, le grand public aura également l'occasion d'apporter des faits ou des arguments qu'il jugera pertinents par rapport à la demande en question. Cependant, en pratique, le choix de l'intervention d'un comité consultatif est laissé à la discrétion de la direction de la FDA, qui n'y a recours que lorsqu'elle le juge approprié. Il arrive que le comité vote, alors que, parfois, le personnel de la FDA se contentera de prendre acte du compte rendu. En tout état de cause, c'est à la FDA que revient la responsabilité finale de l'exécution de la demande. Les règles sont différentes au Canada, où le processus d'évaluation,

interne, est mené par la DGPS et où les niveaux de confidentialité des renseignements fournis à l'appui de la demande sont des plus élevés.

2.2 Nous avons observé deux audiences publiques. Les deux ont eu lieu dans un hôtel de la banlieue de Washington, à une certaine distance du centre-ville. La première, tenue le 20 juillet, consistait en une réunion mixte des comités consultatifs sur les médicaments vendus sans ordonnance et sur l'arthrite; la seconde, tenue le 21 juillet, consistait en la réunion du comité consultatif sur l'arthrite seulement. Ces audiences se déroulent d'une façon relativement uniforme, dans l'ordre suivant : présentation donnée par le personnel de la FDA; présentation donnée par le requérant; période de questions ou de délibérations publiques; discussion synthèse entre les membres du comité. Nous avons été particulièrement impressionnés par le nombre de renseignements détaillés qui ont été consignés dans les archives publiques, non seulement par le personnel de la FDA, mais aussi par les sociétés requérantes. Au cours de la première audience, six membres du personnel de la FDA se sont vu allouer, au total, 75 minutes afin d'examiner des aspects précis de la demande. Pour sa part, Merck & Co., la société requérante, a bénéficié d'un temps de parole égal afin de défendre sa demande. En plus de fournir une foule de renseignements détaillés lors de sa présentation principale, Merck & Co. a répondu rapidement, avec précision, aux quelque 42 questions que lui ont posées les membres du comité consultatif. Un seul auditeur du public a pris la parole — un représentant d'un groupe de revendication avec lequel nous nous sommes ensuite entretenus. Cet intervenant a soulevé un argument très intéressant, soit que le fait que le Canada ait autorisé l'utilisation d'un certain produit, ainsi que l'avait démontré le requérant, ne devait pas être considéré, en raison du caractère secret du processus canadien et, par le fait même, de l'impossibilité de présumer de la validité des résultats obtenus. L'audience tenue le lendemain était, à peu de détails près, similaire. Les deux audiences ont été enregistrées sur bande vidéo par trois sociétés indépendantes autorisées à mettre en marché les cassettes auprès du public. Au moins l'une de ces sociétés a diffusé en direct, sur Internet, le contenu de l'audience, ce qui tranche énormément avec les pratiques en cours au Canada.

2.3 Nous avons eu une rencontre informelle avec Larry Sasish, du groupe de revendication *Public Citizen*. Ce groupe apprécie le système d'audiences publiques en place, bien que, en fait, il semble y avoir quelques désaccords à ce sujet. *Public Citizen* a des réserves quant aux frais modérateurs, à tout le moins en principe. Ce qui lui apparaît beaucoup plus inquiétant, toutefois, c'est l'influence excessive qu'exercent certains sénateurs et représentants sur la FDA, et le risque que, de leur côté, des fabricants appuient leur campagne électorale.

2.4 En règle générale, ces audiences publiques nous ont impressionnés. Certains d'entre nous ont cependant quelques réserves quant au processus américain, et nous n'avons encore reçu aucun renseignement relativement au coût moyen de telles audiences. Nous retenons surtout que, en fonction du processus de la FDA, les fabricants de médicaments sont systématiquement appelés

à recueillir une grande quantité des renseignements à leur disposition, et qu'ils le font sans réticence apparente. De fait, nous avons été étonnés par l'acceptation de l'étape des audiences publiques, sans remise en question ou contestation par l'une ou l'autre des parties.

3. Entrevues

3.1.1 Nous avons d'abord rencontré le Dr Murray Lumpkin, directeur adjoint du *Center for Drug Evaluation and Resarch*. En plus de nous fournir, par écrit, plusieurs renseignements détaillés, le Dr Lumpkin nous a fait part de ses observations approfondies et fort utiles. Il nous a plus particulièrement expliqué le contexte et le processus de mise en oeuvre de la loi régissant les frais modérateurs imposés aux utilisateurs de médicaments délivrés sur ordonnance (*Prescription Drug User Fee Act*), d'abord adoptée en 1992, puis promulguée sous sa forme modifiée en 1997. Cette loi lui apparaît sans aucun doute comme une réussite. Elle prescrit des règles peu courantes, surtout du fait que les frais imposés ne passent pas par le Trésor américain, mais par une banque privée, et que le Congrès américain ne peut attribuer de fonds en-deça du niveau établi en 1992. De plus, les frais sont renouvelés d'un exercice à l'autre. Le Dr Lumpkin a fait remarquer que les fabricants de médicaments de marque renommée délivrés sur ordonnance sont satisfaits de la PDUFA et qu'ils s'y conforment volontiers. Ils ont d'ailleurs activement participé à son élaboration. Les sociétés fabriquant des médicaments génériques avaient choisi de ne pas y participer, et elles ne sont pas couvertes par la loi. Par conséquent, il existe maintenant deux types de mesures en vigueur à la FDA : celles menées en vertu de la PDUFA, qui bénéficient de ressources supplémentaires et d'une certaine souplesse dans leur application; celles qui dépendent des fonds attribués par le Congrès et des règles du Trésor. Le Dr Lumpkin nous a mentionné que l'imposition de frais modérateurs n'avait pas eu d'incidence négative sur le bien public. Nous avons noté que, en partie, la raison pour laquelle les fabricants de médicaments de marque renommée approuvaient la PDUFA était la promesse, en échange, de certaines améliorations, notamment par rapport à la rapidité du processus. Cette promesse s'est concrétisée, les améliorations ont eu lieu. Il reste cependant un sujet de préoccupation, la surveillance ultérieure à l'approbation des médicaments.

3.1.2 Le Dr Lumpkin a décrit le travail des comités consultatifs, une autre composante du système qu'il considère manifestement comme une réussite. La plupart des membres de ces comités sont choisis en fonctions de leurs qualifications professionnelles. En outre, chaque comité doit comprendre un représentant des consommateurs, choisi par l'*Office for Consumer Affairs* de la FDA, et certains sont également composés d'un représentant de patients, choisi cette fois par l'*Office of Special Health Issues*. Les membres des comités sont considérés comme des « employés spéciaux du gouvernement », se voient attribuer un montant quotidien symbolique, en plus d'un autre couvrant leurs dépenses, et doivent observer la législation gouvernementale en matière de confidentialité et de conflit d'intérêts. La présence de comités consultatifs n'est pas une exclusivité de la FDA. Ces comités sont plutôt l'expression d'une politique généralement en vigueur au gouvernement américain,

et sont régis par la *Federal Advisory Committees Act*. Par une heureuse coïncidence, les longs documents de synthèse fournis au comité lors de la première audience publique à laquelle nous avons assisté étaient, pour la première fois, distribués en même temps au public. Cette pratique est une conséquence importante d'un récent ordre de la cour adopté en vertu de la FACA.

3.1.3 La nouvelle que le personnel au service du Dr Lumpkin tient une vidéoconférence mensuelle avec celui du Programme des produits thérapeutiques de Santé Canada nous a réjouis. Le Dr Lumpkin appuie avec enthousiasme les tentatives d'harmonisation internationale.

3.2 Nous avons rencontré Mme Pat Kuntze, commissaire adjointe intérimaire représentant l'*Office of Consumer Affairs*. Elle a décrit le travail du l'organisme en place depuis une vingtaine d'années. Celui-ci appuie les revendications des groupes de défense des consommateurs, surtout par le truchement du *Consumer Consortium*, qui regroupe lui-même une douzaine d'organismes. Comme on l'a mentionné plus tôt, l'*Office of Consumer Affairs* gère le processus de sélection des représentants des consommateurs au sein des comités consultatifs, en plus d'accorder son soutien et des conseils à ceux-ci. Auparavant, l'OCA fournissait également un soutien financier à certains groupes de défense des consommateurs afin de les aider à se préparer aux audiences publiques, mais un ordre de la cour a mis fin à cette pratique.

3.3.1 Nous avons rencontré la vice-amiral Marlene E. Haffner, directrice de l'*Office of Orphan Products Development*, ainsi que le personnel à son service. Elle nous a présenté le contexte de cet organisme, créé en vertu d'une loi adoptée en 1983, et nous a décrit son travail. Sa mission consiste essentiellement à faire entrer sur le marché des produits thérapeutiques pour lesquels la demande n'est pas assez forte pour susciter l'intérêt des principaux fabricants. L'organisme a recours à tout un lot de mesures incitatives afin de réaliser sa mission, comme la promesse d'une mise en marché exclusive, des crédits d'impôt, une aide protocolaire et des subventions de recherche.

3.3.2 La vice-amiral Haffner a insisté sur le souhait réel de son organisme à participer à des projets de coopération avec le Canada. L'OOPD a déjà entrepris plusieurs projets entraînant la participation de chercheurs qui ne sont pas d'origine américaine. Parmi les raisons invoquées en faveur de projets de collaboration avec le Canada figurent les différences entre les systèmes de santé des deux pays : une composante principale des coûts des projets américains sont les soins aux patients, que les compagnies d'assurance américaines ne couvrent pas, mais qui le sont automatiquement au Canada grâce à son régime universel de soins de santé. Cette caractéristique canadienne permet l'attribution d'un plus grand nombre de subventions consacrées uniquement à la recherche.

3.3.3 Elle a souligné que, même si le Canada avait exprimé son intérêt face aux médicaments orphelins, les employés de l'OOPD n'entretenait pas de communications continues avec leurs pairs canadiens.

3.4 1 Nous avons rencontré Theresa Toigo, de *l'Office of Special Health Issues*, ainsi que son personnel. Cet organisme, qui semble relever de l'*Office for Consumer Affairs*, répond principalement aux besoins des personnes atteintes de cancer ou du sida. Il est responsable de la sélection et de la formation des représentants de patients atteints de ces maladies au sein des conseils consultatifs, de même que, de façon plus générale, des communications entre la FDA et les personnes souffrant du cancer et du sida.

3.4.2 L'OSHI s'appuie sur un personnel restreint, mais enthousiaste. La qualité des publications de l'organismes nous a impressionnés.

4. Conclusions

4.1 D'emblée, notre conclusion générale est que cette visite a été très instructive et stimulante. Il va sans dire qu'elle a grandement contribué aux travaux du comité. Bien que le processus américain d'évaluation des médicaments ne soit pas complètement ouvert, comme on le laisse souvent entendre, la dynamique de travail entre les sociétés pharmaceutiques, les organismes de réglementation et le public américains est tout à fait différente des pratiques en cours au Canada.

4.2 Dans la mesure où les États-Unis représentent notre plus proche voisin, notre principal partenaire commercial et notre principal fournisseur de produits thérapeutiques, il était logique que ce pays soit notre première halte d'observation. La portée et la diversité des découvertes que le comité y a faites nous encouragent à visiter d'autres territoires.

Le 21 août 1999

Annexe C-2

COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS
Rapport
Observations et consultations
Londres, Royaume-Uni
24 - 28 octobre 1999

1. Contexte

1.1 Après que le comité ait étudié le processus d'examen des médicaments utilisé aux États-Unis sous l'égide la Food and Drug Administration, il a été convenu d'essayer d'entrer en contact avec des représentants pertinents de la Medicines Control Agency du Royaume Uni et de l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments afin d'effectuer des consultations semblables. Le siège social des deux organismes se trouve à Londres.

1.2 Il a été impossible de fixer une réunion du comité avec le dirigeant de la MCA dans le délai imparti. Cependant, il a été convenu que Leslie Millin entreprendrait des consultations auprès de ces agences, au nom du comité, et à un palier intermédiaire, et qu'il rassemblerait tous les renseignements généraux utiles lors d'une courte visite.

1.3 Le but de ce document est de rendre compte des fruits de cette démarche.

2. Medicines Control Agency

2.1 M. Millin a rencontré Shaun Delaney et Leslie Whitbread. M. Delaney est adjoint au président-directeur général de la MCA et M. Whitbread est secrétaire du comité sur l'innocuité des médicaments.

2.2 Ces deux personnes ont souligné qu'une caractéristique principale du processus d'examen des médicament effectué par la MCA est la confidentialité. « Quand le processus est en cours, personne, sauf nous, ne la voit ». De plus « l'essentiel est le secret ». Ce principe est dicté par la législation et est scrupuleusement observé. Cependant, le gouvernement du Royaume-Uni est déterminé à passer une loi sur la liberté d'information, et la MCA a réfléchi à ses retombées possibles sur le processus d'examen des médicaments. Jusqu'à ce que la législation soit déposée, il est impossible de prédire les exigences qu'elle contiendra. Une possibilité est que les procès-verbaux corrigés des comités consultatifs d'experts soient rendus publics après qu'une décision sur toute demande de production d'un nouveau médicament ait été prise et publiée dans le journal officiel. La MCA est consciente de la pression grandissante qu'exerce le public pour avoir plus d'information sur le processus d'examen des médicaments.

2.3 La MCA possède relativement peu de personnel. Elle recourt à des comités permanents d'experts externes pour effectuer son travail. Ne possédant pas de laboratoires scientifiques internes, elle fait appel à des laboratoires externes dans le cadre d'un système d'ententes de services. Ces laboratoires externes ont fait l'objet d'une vérification complète et sont assujettis à des ententes techniques et de confidentialité.

2.4 Le temps moyen requis pour évaluer une demande de nouveau médicament (DNM) est de 30 à 45 jours. Cependant, la MCA collabore étroitement avec les fabricants bien avant que toute demande officielle soit déposée, ce qui accélère habituellement le processus d'examen. « Le but est d'avoir des *partenariats* avec l'industrie. »

2.5 Lorsque la MCA a été créée, ses deux premières tâches ont été de régler l'arriéré de DNM et d'arriver à s'auto-financer. Il lui a fallu à peu près trois ans pour atteindre cet objectif. La MCA est maintenant financièrement autonome grâce aux droits d'utilisation qu'elle perçoit, et elle a réussi à réduire ces droits d'environ 35 p. 100 depuis sa création. Elle fonctionne en se basant sur des plans annuels d'activités et son président-directeur général reçoit une prime d'encouragement lorsque les buts opérationnels sont respectés ou dépassés.

2.6 La MCA remporte un tel succès qu'elle concurrence maintenant d'autres États membres de l'Union européenne au chapitre des DNM. Grâce à des ententes de reconnaissance mutuelle, les approbations accordées au Royaume-Uni sont automatiquement valables dans d'autres pays de l'Union européenne.

2.7 La surveillance après la mise en marché est un « secteur grandissant ». Le but est d'avoir les rapports sur les effets secondaires néfastes publiés par voie électronique dans les quatorze jours.

2.8 L'harmonisation à l'échelle internationale a été décrite comme « un engagement ».

2.9 Les produits thérapeutiques orphelins ont été décrits comme une « zone légèrement grise ». Il n'existe pas de programme officiel. Cependant, les intentions de l'UE dans ce domaine peuvent servir à couvrir les besoins du Royaume-Uni.

2.10 La MCA entretient des contacts permanents avec le PPT.

3. Agence européenne pour l'évaluation des médicaments

3.1. M. Millin a rencontré le Dr Patrick le Courtois, chef de secteur, unité de l'évaluation des médicaments pour les humains, et Antoine Cuvillier, administrateur de la Direction.

3.2 L'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments est financée par les droits d'utilisation et les subsides versés par le Parlement européen. Les droits d'utilisation apportent entre 60 et 75 p. 100 des revenus; un ratio de 75/25 est considéré idéal. Le but des subsides est de faire en sorte que certaines activités, comme des projets spéciaux de recherche, puissent être financées même si elles n'ont pas de lien immédiat avec une DNM.

3.3 La collecte de droits d'utilisation est largement appliquée dans les États membres de l'UE, en général avec succès. Cependant, on a souligné que ce succès dépend habituellement du fait que les organismes de réglementation ont le statut d'*agence spéciale* -- quand la réglementation provenait d'un ministère responsable, un problème se posait invariablement parce que les droits d'utilisation étaient versés dans des revenus consolidés au lieu d'être réservés spécialement aux activités d'évaluation.

3.4 L'examen de base d'une DNM a lieu en 210 jours, et ce délai n'a jamais été dépassé. Cependant, dans certaines circonstances, le chronomètre peut être arrêté. Pour un premier rapport, l'objectif est de 70 jours. Un modèle normalisé de présentation des documents permet d'avoir l'assurance que les données d'une DNM sont complètes au moment de la réception du dossier. Le fabricant peut déposer une demande de reconnaissance mutuelle au sein de l'UE (point 2.6 ci-dessus) et obtenir une réponse dans les 90 jours. Il doit fournir des renseignements identiques à tous les États membres de l'UE pour obtenir cette reconnaissance.

3.5 L'harmonisation à l'échelle internationale est en un sens une *raison d'être* de l'Agence européenne pour l'évaluation des médicaments et est activement étudiée dans des organismes comme le Comité international sur l'harmonisation. De plus, il existe des ententes avec divers pays d'Europe centrale et de l'Est, ainsi qu'avec des pays d'Amérique Latine comme le Brésil et l'Argentine.

3.6 Actuellement, il n'y a pas de produits orphelins mais la législation nécessaire est à l'étape de la deuxième lecture et il est prévu qu'elle entrera en vigueur d'ici à l'été prochain. Le programme proposé est clairement influencé par les expériences américaines et japonaises, et reflète une combinaison semblable d'incitatifs. Ce programme est décrit en détail dans le document annexé à ce rapport.

4. Observations générales

4.1 Des discussions avec des collègues ont apporté des observations intéressantes qui ont fait l'objet d'une étude documentaire.

4.2 Une de ces observations est que le système britannique d'essais cliniques des nouveaux produits prête à la controverse. Une vérification de ces essais couvrant une décennie a montré que les

procédés adoptés pour décider de l'innocuité et de l'efficacité des nouveaux produits étaient faussés au point de présenter un risque pour la santé des personnes qui y prenaient part. Dans un échantillon de 226 essais, on a constaté qu'un nombre important d'effets secondaires n'avaient pas été rapportés dans environ 30 p. 100 des cas. Dans environ 55 p. 100 des cas, on n'a pas eu suffisamment de preuves que les médicaments étaient entreposés à la bonne température. On a aussi constaté que 43 p. 100 des patients n'avaient pas reçu d'instructions claires sur l'utilisation du médicament à l'essai. Il semble également que des fabricants étrangers aient fait tester leurs produits au Royaume-Uni ces dernières années parce que les essais qu'ils voulaient avoir étaient interdits dans d'autres pays, notamment aux États-Unis. Ces allégations sont bien entendu contestées.

4.3 Une autre observation générale est que le statut d'agence spéciale de la MCA, quoiqu'il ait très bien fonctionné en ce qui concerne le mandat, comporte des pénalités. Les méthodes de travail de l'agence spéciale sont telles qu'elles n'attirent ou ne retiennent pas les scientifiques les plus brillants car elle n'a pas de laboratoire et son personnel doit en tout temps respecter des règles strictes de confidentialité. En outre, le statut d'agence spéciale s'accompagne, dans une certaine mesure, d'isolement organisationnel -- le personnel ne peut pas facilement aller d'un service à l'autre, comme c'était auparavant le cas, de sorte que les échanges intellectuels fertiles sont eux aussi limités.

4.4 L'atmosphère générale de réprobation de l'activité scientifique qui règne dans toute l'Europe de l'Ouest est frappante. Actuellement, la question des aliments et autres substances génétiquement modifiés fait les manchettes. Une grande chaîne de magasins britanniques de vente au détail affiche des placards disant qu'aucun des produits alimentaires vendus n'est génétiquement modifié. Les tests scientifiques sur les plantes génétiquement modifiées ont été vandalisés. Avec la mondialisation grandissante du flot d'informations, nous pouvons prévoir que des activités semblables de lutte contre les scientifiques pourraient avoir lieu au Canada dans un proche avenir, s'il n'y en a pas déjà.

Leslie Millin
10 novembre 1999

Annexe D

COMITÉ DU PROCESSUS D'EXAMEN DES MÉDICAMENTS

Conseil consultatif des sciences, Direction générale de la protection de la santé

RAPPORT PROVISOIRE

Octobre 1999

1. Contexte

1.1 Le Comité a été formé après que le Comité consultatif des sciences (CCS) a donné son accord lors de la réunion qu'il a tenue en mars 1999. Il est présidé par Doug Elliott et l'on compte parmi ses membres Russ Graham, Jean Jones, Leslie Millin et Karen Semchuk, Bernard Schwetz exerçant la fonction de conseiller. Son mandat figure à l'annexe A.

1.2 Au début de ses travaux, le Comité a convenu de présenter son rapport final à la réunion que devait tenir le CCS en novembre 1999; il a également convenu de rédiger un rapport provisoire pour la réunion de septembre. Ce rapport provisoire a pour objet de cerner des questions et de présenter certaines observations en vue d'une discussion et des travaux futurs du Comité, mais non de présenter des recommandations, celles-ci devant faire partie du rapport final.

1.3 Les observations contenues dans ce rapport provisoire, sauf indication contraire, sont fondées sur le consensus des membres du Comité et tirées de leurs consultations et de leur recherche documentaire. Il n'y a pas de citations. Le rapport final contiendra les notes en bas de page appropriées.

2. Travaux effectués à ce jour

2.1 À ce jour, le Comité :

- a examiné les résultats des questionnaires envoyés aux parties intéressées et au personnel de la Direction générale de la protection de la santé;
- a rencontré le dirigeant du Programme des produits thérapeutiques (PPT);
- s'est rendu à Washington pour consulter des représentants de la Food and Drug Administration et observer le processus des audiences publiques;
- a travaillé par le truchement de téléconférences et d'échanges de courriels.

2.2 En outre, le président a rencontré au début de mai le Comité consultatif de gestion du PPT.

2.3 Le rapport du Comité portant sur les consultations qui ont eu lieu à Washington figure à l'annexe B du présent rapport provisoire. L'annexe C présente les résumés des résultats des questionnaires. Ils ont été établis par Russ Graham, et le Comité suggère avec insistance que tous les membres du CCS les examinent attentivement. Nous aimerions remercier Russ de les avoir établis avec diligence.

3. Méthode d'analyse

3.1 Aux fins de ce rapport provisoire, nous avons déterminé que les quatre principes suivants étaient essentiels pour l'examen du processus d'examen des médicaments :

- rapidité d'exécution;
- transparence;
- efficience;
- efficacité.

Bien qu'ils soient interactifs, nous les examinerons séparément.

3.2 Nous avons également déterminé les quatre autres considérations suivantes qui, d'une façon ou d'une autre, touchent ces principes :

- frais d'utilisation;
- surveillance après la mise sur le marché;
- harmonisation à l'échelle internationale;
- produits orphelins.

On les mentionnera dans l'analyse des quatre principes précités.

4. Analyse

4.1 Rapidité d'exécution

4.1.1 La controverse publique qui a affecté la Direction générale de la protection de la santé (DGPS) ces dernières années est due en partie à des questions concernant la rapidité d'exécution du processus d'examen des médicaments. L'insatisfaction à l'égard de l'application de ce principe aux travaux scientifiques essentiels au processus canadien semble virtuellement universelle, mais pour des motifs très différents. En gros, les fabricants de médicaments croient que le processus est trop long. Les consommateurs et les groupes de revendication craignent que les chercheurs scientifiques ne fassent l'objet, directement ou indirectement, de pressions visant l'accélération du processus à un point tel qu'il pourrait mettre en péril la sécurité du public. D'autres craignent que de nouveaux produits dont on a besoin de toute urgence pour sauver des vies ne soient indûment retardés.

4.1.2 On s'entend toutefois sur le fait que le processus, au Canada, est beaucoup plus long que dans d'autres administrations relativement comparables, notamment les États-Unis. La direction de la DGPS allègue que la situation est principalement due à l'arriéré, et

que lorsqu'une demande est examinée - et non pas simplement reçue - la durée du processus canadien est comparable à celle des processus de nos homologues. Cet arriéré est généralement attribué à l'insuffisance des ressources.

4.1.3 Dans certaines administrations, comme le Royaume-Uni, le temps imparti pour au moins certains aspects du processus d'examen des médicaments est établi par la loi. Aux États-Unis, la *Prescription Drug User Fee Act* (Loi sur les frais d'utilisation des médicaments délivrés sur ordonnance) équivaut presque à un traité conclu par les fabricants de médicaments délivrés sur ordonnance et le gouvernement; elle prévoit que le paiement rapide d'un montant substantiel garantira que les ressources seront suffisantes pour un examen rapide. Nous considérons comme important le fait que les limites de temps établies par la loi et les frais d'utilisation soulèvent des questions très vexantes, même si nous mettons complètement de côté pour le moment les considérations inévitables liées à la confiance du public à l'égard du processus.

4.1.4 Prenons les limites de temps imposées par la loi. On ne tient pratiquement pas compte de la différence entre une demande qui exige une étude longue et complexe et quelque chose de relativement simple. Si la durée de l'évaluation est précisée - *n* jours pour une demande ordinaire; *n+x* pour quelque chose de plus complexe - on ne tient pas compte des exigences spéciales d'une demande pour un médicament particulièrement compliqué ou potentiellement dangereux. La qualité des recherches scientifiques doit inévitablement être compromise, du moins dans certains cas. Lorsqu'un calendrier complexe comportant diverses limites de temps imposées par la loi est proposé, on doit considérer qu'il est très probable que le requérant sera tenté de décrire la demande de façon à viser la plus courte limite de temps, même si elle est insuffisante. Une politique axée sur l'ordre d'arrivée est essentielle si un tel système doit être utilisé, et cela diminue la capacité de la direction d'attribuer la priorité à un produit dont la mise en place pourrait avoir des conséquences très importantes.

4.1.5 Les frais d'utilisation, qu'au Canada on appelle le *recouvrement des coûts*, donnent lieu à une gamme différente de considérations. On s'en est servi ici pendant quelques années, mais il faudrait noter que le système canadien ressemble peu au système américain. Aux fins de la Federal Drug Administration (FDA), les frais d'utilisation :

- ne s'appliquent qu'aux demandes visant des médicaments délivrés sous ordonnance et présentées par des sociétés spécialisées dans l'innovation et la recherche (et non pas dans les produits génériques);
- vont dans un fonds affecté qui n'est pas du ressort du Trésor;
- ne peuvent être perçus que si les affectations de fonds publics votées par le Congrès ne tombent pas sous un niveau établi.

Ce système s'est avéré une réussite pour la FDA et les fabricants ayant présenté une demande aux États-Unis.

4.1.6 En outre, le système américain des frais d'utilisation comporte d'autres difficultés, dont celles-ci :

- Création de deux genres d'organisations au sein de l'organisme administratif et réglementaire : celles ne dépendant que de crédits et celles ayant accès aux crédits et aux frais d'utilisation.

- Création de deux catégories de requérants : ceux qui croient avoir une relation semi-contractuelle avec l'organisme (étant donné qu'ils acquittent des frais) et les autres (qui ne paient pas de frais).
- Accent mis sur la recherche précédant l'autorisation au risque de diminuer la surveillance après la mise sur le marché.
- Risque de fausses priorités; en particulier en ce qui concerne les *produits orphelins*.

En ce qui concerne le premier point : la pratique de la FDA indique que des dispositions spéciales visant à améliorer la rémunération et les avantages au-delà des minimums normaux du gouvernement risquent de faire en sorte que la recherche financée par les frais d'utilisation devienne une sorte de trou noir accaparant les meilleurs talents au détriment d'autres activités. En ce qui concerne le deuxième point, les membres du CCS devraient lire le rapport intitulé *Assez, c'est assez*, annexé à la réponse de Merck-Frosst à notre questionnaire et qui établit clairement que l'industrie s'attendait à certains avantages qui ne lui ont pas été accordés. En ce qui concerne le troisième point : la surveillance après la mise sur le marché est devenue pour nous une préoccupation majeure, et il est difficile, dans un milieu où règnent les frais d'utilisation, de juger la façon dont ces frais pourraient fournir des ressources suffisantes, car les utilisateurs qui acquittent ces frais veulent naturellement que leurs contributions servent au processus d'approbation. Il faudrait peut-être d'autres façons d'aborder la question du financement.

Enfin, bien que nous ayons été impressionnés par le Orphan Products Program (Programme des produits orphelins) de la FDA (voir les points 3.3.1 à 3.3.3 de notre rapport sur la visite à Washington), son existence même et ses dispositions indiquent qu'il a fallu recourir à des mesures extraordinaires pour persuader les fabricants de s'attaquer à ce domaine; et l'une des dispositions est l'exemption à l'égard des frais d'utilisation.

4.2 Transparence

4.2.1 Si nous sommes allés à Washington, c'était en grande partie pour à assister aux audiences publiques si souvent mentionnées dans les réponses à notre questionnaire. Fait intéressant, bien que les audiences publiques soient le plus souvent demandées par des groupes de revendication, l'industrie se dit également préoccupée par la *transparence*. Le problème, bien sûr, c'est que l'industrie, en même temps, cherche à protéger ses droits commerciaux de propriété intellectuelle.

4.2.2 Ce que nous avons observé à Washington est décrit dans les paragraphes 2.1 à 2.4 de notre rapport sur la visite à Washington. Aucun observateur ne peut manquer d'être frappé par le fait que les mêmes entreprises qui insistent sur le secret lorsqu'il s'agit de leurs demandes au Canada sont parfaitement prêtes à envoyer des scientifiques chevronnés et des représentants de la direction aux audiences publiques à Washington pour y présenter des renseignements détaillés sur leurs recherches et pour répondre à des questions détaillées sur les données scientifiques appuyant les demandes qu'elles ont présentées à la FDA. Aucune limite n'est imposée à la circulation de l'information présentée au cours des audiences publiques de la FDA; le matériel est immédiatement affiché sur Internet et trois entreprises de vidéo enregistrent séparément l'audience et vendent les cassettes. On ne peut trop souligner la divergence entre les processus américain et canadien à cet égard. Nous reviendrons sur ce point dans notre rapport final, mais pour le moment, nous demanderions à nos collègues de Santé Canada si une telle transparence est possible dans le cadre du droit canadien et si l'on envisage, dans le cadre de la révision de dispositions législatives qui est actuellement en cours, de procéder à des modifications ou des éclaircissements qui permettraient ou encourageraient un tel processus.

4.2.3 Ce domaine nécessite de toute évidence que l'on procède à une harmonisation à l'échelle internationale. Nous avons remarqué que les audiences de la FDA ne sont publiques que dans un sens restreint, en dépit des affichages sur Internet et des autres activités d'information. Par exemple, elles ont presque toutes lieu dans la région de Washington, dans des lieux choisis davantage pour leur commodité administrative que pour l'accès du public, et seule la FDA détermine les demandes d'approbation de médicament qui sont présentées pour une audience publique. En outre, les discussions dépassent parfois la capacité d'entendement des profanes, et il a semblé que l'on s'efforçait peu au cours des audiences elles-mêmes d'au moins présenter à l'occasion en langage simple des résumés ponctuels des questions en jeu. Nous avons cependant noté avec intérêt que l'on s'efforçait très sérieusement d'aider les représentants des organisations de consommateurs à participer.

4.2.4 Enfin, nous remarquons que la transparence du processus est l'autre grande source de friction et de controverse entourant les travaux de la DGPS et la diminution conséquente de la confiance du public. Cela est un thème constant et presque universel dans les réponses à notre questionnaire. À moins que le travail scientifique de la DGPS puisse être perçu comme complet, rigoureux, suffisamment financé et libre d'influences externes, le peu de confiance qui reste pourrait diminuer encore.

4.3 Efficience

4.3.1 Nous avons indiqué ci-dessus, ainsi que dans notre rapport sur la visite à Washington, que le passage à des frais d'utilisation pour les médicaments délivrés sous ordonnance dans le processus de la FDA est décrit comme ayant amélioré l'efficience de l'examen des demandes concernant des médicaments. Mais nous avons également noté que le système américain est probablement particulier à ce pays et que les caractéristiques qui font sa réussite ne peuvent probablement pas être reproduites au Canada. Pour le moment, on ne sait trop si les frais d'utilisation actuellement imposés au Canada ont amélioré l'efficience du processus d'examen des médicaments à la DGPS. On présume que l'étude entreprise par des consultants externes pour le compte du PPT éclaircira cette question.

4.3.2 D'autres pratiques de gestion pourraient être plus prometteuses. Nous avons remarqué que la FDA n'accepte aucune demande incomplète ou qui ne répond pas complètement à ses normes bien connues; il n'y a pas de doute que c'est là une des raisons de la rapidité de son processus.

4.3.3 Il ne faudrait pas omettre le fait que la surveillance après la mise sur le marché améliore l'efficience. Un programme complet, bien financé et dont les résultats sont largement diffusés améliorera la qualité des demandes, la minutie des recherches et donc l'efficience. Si les requérants savent que leurs demandes seront évaluées en fonction des résultats pertinents de la surveillance exercée après la mise sur le marché et que les produits approuvés seront aussi examinés après leur arrivée sur le marché, ils seront motivés à préparer leurs demandes en conséquence; et les demandes inévitablement améliorées garantiront que le processus d'examen sera plus efficient : de meilleurs intrants entraînent de meilleurs extrants.

4.3.4 L'excellence des données scientifiques contribue au processus d'examen des médicaments. Le rapport final contiendra des observations à ce sujet. À ce jour, la restriction des activités scientifiques des spécialistes de la DGPS a été principalement attribuée à la préoccupation concernant la confidentialité commerciale. Comme nous

l'avons indiqué au point 4.2.2 ci-dessus, cette préoccupation pourrait en grande partie ne pas être fondée.

4.4 Efficacité

4.4.1 Actuellement, le processus d'examen des médicaments semble être exclusivement un système produit par produit, demande par demande. On pourrait sans doute mieux maîtriser l'*efficacité* du système si l'on mettait en place de vastes programmes de recherches axés sur les effets, au fil du temps, de familles de produits connexes ou de produits visant des problèmes identiques ou semblables ou au moins visant à produire des effets semblables.

4.4.2 Nous avons indiqué au point 4.3.3 ci-dessus le rôle que joue la surveillance exercée après la mise sur le marché dans l'amélioration de l'efficacité du processus d'examen des médicaments. Il semble également que cette surveillance peut être la partie la plus faible du processus actuel d'examen des médicaments lorsqu'il s'agit de vérifier l'efficacité de produits pharmaceutiques particuliers. Nous avons remarqué que le processus de la FDA est impressionnant en ce qui concerne la mise de nouveaux produits sur le marché, mais l'accent mis sur les frais d'utilisation et le système à deux catégories que cela crée semblent engloutir les recherches nécessaires pour vérifier ce qui se passe lorsque ces nouveaux produits sont largement consommés par le public.

5. Conclusions

5.1 Le Comité a conclu que les travaux qu'il a accomplis à ce jour sont stimulants. Ils ont consisté en grande partie à effectuer une synthèse, car bien qu'on puisse avoir accès à beaucoup d'information, celle-ci est généralement éparpillée.

5.2 Nous avons l'intention de continuer à consulter les parties intéressées, y compris la direction et le personnel de la Direction générale de la protection de la santé, et nous désirons présenter des remerciements pour l'information et les conseils déjà reçus.

5.3 Nous sommes à ce moment certains d'atteindre notre objectif consistant à présenter au CCS un rapport final lors de la réunion prévue pour novembre.

Comité du processus d'examen des médicaments
Le 29 octobre 1999

Annexe E

BIBLIOGRAPHIE SOMMAIRE

Gouvernement du Canada

Santé Canada (anciennement Santé et Bien-être social Canada)

Background Discussion Paper (Stein Report), Working Group on Drug Submission Review, le 22 octobre 1987.

Commission d'enquête sur l'approvisionnement en sang au Canada, Rapport final, l'Honorable juge Horace Krever, 1997.

Departmental Response to the Recommendations of the Working Group on Drug Submission Review, ministère de la Santé nationale et du Bien-être social, juin 1988.

À l'heure du changement : rapport du Comité d'étude des instruments médidcaux (Rapport Hearn), mai 1992.

Direction des médicaments : Vers un système amélioré de réglementation des médicaments : Progrès depuis le rapport Stein, Santé et Bien-être social Canada.

Renseignements de Mario Simard sur l'article 1711 (5) de L'ALÉNA ET L'ARTICLE 39(3) du GATT.

Renseignement Canada

Lalonde, Marc, Nouvelle perspective de la santé des Canadiens : un document de travail, Information Canada, Ottawa, 1975.

Medicines Control Agency, Annual Report and Accounts, Londres, 1998/1999.

Medicines Control Agency, Framework Document, Londres, 1997.

Summary Report, Program Evaluation Study of the **Drug** Safety, Quality and Efficacy Program, Santé et Bien-être social Canada, le 2 juin 1989.

Update to the Departmental Response to the Recommendations of the Working Group on the Drug Submission Review, septembre 1989.

L'évaluation des médicaments -- un travail de concertation, un résumé de l'étude effectuée par Denis Gagnon du système canadien d'approbation des médicaments, juillet 1992.

Renseignements obtenus au cours du voyage à la *FDA* des É.-U. :

- L'ordre du jour de deux réunions publiques ouvertes tenues : *Non-prescription Drugs and Arthritis Advisory Committees.*
- *Availability of FDA and Sponsor Background Material Connected to CDER Advisory Committee Meetings*
- *CDER 1998 Report to the Nation* (*Center for Drug Evaluation and Research*)
- Publicité commerciale et bon de commande pour le vidéo des audiences publiques; adresse du site Web : www.FDALive.com
- Service de publicité commerciale à la télévision et sur vidéo; et dates des diffusions en direct des réunions des comités consultatifs de la *FDA*.
- *FDA On the Internet*
- Pochette du *Office of Special Health Issues* de la *FDA* qui renferme de l'information sur les activités et les publications du bureau comme : *The FDA What does it do for cancer patients?, Drug Testing from a Patient's Perspective, Benefit Vs Risk: How FDA Approves Drugs, Why Volunteer? Clinical Trial and Medical Treatment, Making Your Voice Heard at FDA: How to Comment on Proposed Regulations and Submit Petitions* et un glossaire d'une page sur l'examen des médicaments.
  Il s'agit du bureau qui assure la formation aux représentants des patients afin de leure permettre de participer aux audiences publiques des comités consultatifs de la *FDA*..
- *Guidelines for Speakers at the open public hearings of an FDA Advisory Committee.*
- Copie papier des transparents du Dr Lumpkin- *A Presentation for: Science Advisory Board, Health Canada.*
- Liste des dates provisoires des réunions - conseillers et experts-conseils (*Centre for Drug Evaluation and Research*)
- Renseignements sur l'élaboration de produits orphelins, *US Department of Health and Human Services, USFDA*

Documentation du PPT, fournie au Comité du processus d'examen des médicaments le 29 septembre 1999

- *Development of a Product Monograph Template*
- *Disclosure of Submission Filing Dates Report and related legal opinion*
- *Information dissemination Strategy Document*
- *Proposal to dispose additional new information on the Notice of Compliance (NOC) database*
- *Report on the Information Dissemination Workshop with Patient Groups*
- *Summary and analysis of archive material concerning the ownership of the Product Monograph*
- *Summary and analysis of comments on the Product Monograph Template*

Documentation du PPT fournie au CCS - transmise le 29 septembre 1999

- *Évaluation du recouvrement des coûts : le Programme des produits thérapeutiques*
- *HDP Consultants functional review of the post-market surveillance function*
- Neuf (9) cartes de sous-processus interreliés
- Rapport de la société *Price Waterhouse Coopers* sur l'efficience du processus d'examen des médicaments
- Recommandations du Groupe de travail sur le VIH/sida sur le processus d'examen des médicaments
- *TPP Strategy/Business Plan for Post-Approval Monitoring*; (révisés le 5 octobre 1999)

- Accord de reconnaissance mutuelle entre le Canada et l'Union européenne.

- Un mémoire au Ministre daté du 12 août et concernant un plan d'action et un calendrier pour les étapes finales de la réforme du processus d'examen et d'approbation des essais cliniques du Programme des produits thérapeutiques.

- Dann M. Michols, notes de service sur la Politique sur les médicaments orphelins, 27 septembre 1999, adressée à Doug Elliott, président du Sous-comité du PEM, CCS; (1) Délivrance d'un avis de conformité en fonction de marqueurs de substitution, à condition que le fabricant effectue et présente des études post-commercialisation confirmatoires.- (2) Étude sur le système d'approbation des médicaments au Canada, juillet 1992.

- *Drug Review Process Survey,* mai 1999 - lettres d'invitation et réponses.

- *Estimated Level of Effort/Resources by Post-Approval Assessment Core Function. Summary of TPP Post-Approval Assessment Strategic Agenda.*

- International conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use (ICH).

- La lettre de Dann Michols du 2 novembre 1999 concernant les recommandations de l'Atelier consultatif sur l'examen des médicaments tenu le 1er octobre 1999 comprenait aussi le sondage mené par la Coalition canadienne de la santé auprès des examinateurs des présentations de drogues du PPT et la note de service s'y rattachant de Dann Michols adressée à tous les employés.

- Recommandations de l'Atelier consultatif - *Drug Review in Canada on the Therapeutic Products Programme Drug Review Process*, le 12 août 1999.

- Recommandations du Groupe de travail sur le VIH/sida sur le processus d'examen des médicaments au Programme des produits thérapeutiques, le 13 juillet 1999 (Annexe 1).

- Programme des produits thérapeutiques, *Post-Approval Assessment Activities; Strategy/Business Plan*, Version 5, préparés par le Bureau de la surveillance des médicaments avec le *HDP Group* pour le Programme des produits thérapeutiques. J.M. Last.(éditeur), Dictionnaire anglais-français et français-anglais des termes utilisés en épidémiologie le 25 août 1999

- Stratégie internationale du Programme des produits thérapeutiques, Division de la politique internationale

- Programme des produits thérapeutiques, *Post-Approval assessment Activities; strategy/Business Plan*, préparés par la Division de l'évaluation continue du Bureau de la surveillance des médicaments avec le *HDP Group* pour le Programme des produits thérapeutiques, le 25 août 1999 et le 5 octobre 1999.

- Programme des produits thérapeutiques, *Baseline Assessment of Drug Submission, Review Process*, le 26 avril 1999

- Comité consultatif sur la gestion du Programme des produits thérapeutiques (attributions), Carolin Vaughn, le 17 mai 1999

- L'évaluation des médicaments -- un travail de concertation, un résumé de l'étude effectuée par Denis Gagnon du système canadien d'approbation des médicaments, juillet 1992, DPPC -

Vérification et liaison, le 15 mars 1999

Annexe F

Notes sur la loi en vigueur au Canada et le processus d'examen des médicaments

1. Un élément qui revient souvent dans les discussions sur la transparence du processus d'examen des médicaments est celui des restrictions légales. L'industrie, pour des motifs liés aux affaires, fait une interprétation limitée de ce que la loi permet en matière de divulgation. En général, la Direction générale de la protection de la santé a, elle aussi, adopté une attitude très prudente relativement aux renseignements qu'elle diffuse à titre public.

2. Deux types de lois s'appliquent au processus d'examen des médicaments. Le premier est la loi constitutionnelle du Canada et les traités internationaux qu'a conclus le Canada; l'autre est l'ensemble des lois nationales du Canada.

3. Une plus grande transparence du processus d'examen des médicaments ne créerait pas de problèmes constitutionnels.

4. En ce qui concerne les obligations issues des traités, l'OMC et l'ALÉNA renferment des dispositions concernant le processus d'examen des médicaments, aux paragraphes 39(3) et 1711(5) respectivement.

> *"lorsqu'une Partie subordonne l'approbation de la commercialisation de produits pharmaceutiques ou de produits chimiques pour l'agriculture qui comportent des éléments chimiques nouveaux, à la communication de données non divulguées résultant d'essais ou d'autres données non divulguées nécessaires pour déterminer si l'utilisation de ces produits est sans danger et efficace, cette Partie protégera ces données contre toute divulgation, lorsque l'établissement de ces données demande un effort considérable, sauf si la divulgation est nécessaire pour protéger le public, ou à moins que des mesures ne soient prises pour s'assurer que les données sont protégées contre toute exploitation déloyale dans le commerce."*

   Cet article n'exige pas le secret sur tout. Par exemple, il n'est pas nécessaire de refuser de divulguer la date d'une demande. *L'article vise clairement à protéger les données scientifiques confidentielles.* Même les renseignements protégés doivent être diffusés «afin de protéger le public» ou lorsque des mesures sont mises en œuvres afin que les données ne puissent être utilisées à des fins de concurrence déloyale.

5. Les mesures visant la transparence aux fins de protection du public ne vont pas à l'encontre de cette obligation issue de traité. Le Canada ne pourrait être l'objet de poursuite en vertu de ces traités si

«Le présent texte ne fait pas état de l'avis juridique de Santé Canada et ne reflète pas non plus son point de vue. Il n'expose que les points de vue qu'a formulés le Comité du processus d'examen des médicaments du Conseil consultatif scientifique.»

nous adoptions des méthodes qui ne seraient pas plus transparentes que celles de notre principal partenaire commercial, les États-Unis. Ce pays fait déjà preuve de beaucoup plus de transparence que le Canada, et nous ne connaissons aucune plainte qui aurait été faite à l'encontre des États-Unis en vertu des traités commerciaux, et fondée sur la transparence de ce pays à l'égard du processus d'examen des médicaments.

6. Selon nous, ces obligations offrent une grande latitude pour l'amélioration de la transparence, du moment que le public se montre disposé à permettre la divulgation des renseignements. *Seules les données scientifiques confidentielles sont protégées – non pas les renseignements qui ne sont pas de nature scientifique; les données scientifiques ne sont pas protégées si elles ne sont pas confidentielles.* Ces dispositions ne posent donc aucun obstacle à l'objet de la recommandation.

7. La *Loi sur l'accès à l'information* du Canada s'applique, et particulièrement les alinéas (a) à (c) de l'article 20 :

> *...le responsable d'une institution fédérale est tenu de refuser la communication de documents contenant :*
>
> *a) des renseignements financiers, commerciaux, scientifiques ou techniques fournis à une institution fédérale par un tiers, qui sont de nature confidentielle et qui sont traités comme tels de façon constante par ce tiers;*
>
> *b) des renseignements dont la divulgation risquerait vraisemblablement de causer des pertes ou profits financiers appréciables à un tiers ou de nuire à sa compétitivité;*

For heureusement, des décisions des tribunaux interprètent ces dispositions à la lumière du contexte entourant l'information concernant les présentations de nouveaux médicaments, et deux cas particuliers sont pertinents ici.

8. Dans le procès *Merck Frosst Canada Inc. contre Canada (Ministre de la santé et du Bien-être social) (1988) F.C.J. n° 290,* le regretté juge en chef adjoint Jerome a examiné la demande du requérant de ne pas divulguer certains renseignements, conformément à une demande faite en vertu de la *Loi sur l'accès à l'information* et concernant une nouvelle présentation de médicament (Clinoril). L'on soutenait que les documents en question renfermaient des «commentaires négatifs, critiques et préjudiciables» sur le médicament, qui mettaient en doute sa sécurité et son efficacité. L'on soutenait aussi que les documents «véhiculaient l'image d'une compagnie qui tentait de

«Le présent texte ne fait pas état de l'avis juridique de Santé Canada et ne reflète pas non plus son point de vue. Il n'expose que les points de vue qu'a formulés le Comité du processus d'examen des médicaments du Conseil consultatif scientifique.»

camoufler l'information aux yeux du public, dont les procédures d'essai étaient négligentes et dont les médicaments étaient douteux». Le tribunal a déclaré qu'il incombait à la compagnie de démontrer que l'information ne devait pas être divulguée. La décision du tribunal est incompatible avec les procédures du PPT en vigueur actuellement, lesquelles semblent l'obliger au secret, à moins qu'il y ait une demande de divulgation des renseignements. Le juge en chef adjoint Jerome a fait remarquer que la plupart des renseignements étaient déjà exposés au public dans la monographie du produit. Bien qu'en tant que tel, ce ne soit probablement pas le genre de renseignements que visait à protéger la Loi, ils n'étaient désormais plus «secrets» et, par conséquent, la disposition de la Loi ne s'appliquait plus pour en interdire la divulgation.

9. Il importe de noter que le tribunal a transmis le procès *Piller Sausages & Delicatessen Limited contre ministre de l'Agriculture* avec approbation, en faisant remarquer que l'information disponible dans les rapports d'inspection de la viande obtenus des autorités américaines n'étaient par confidentielle, et que la diffusion de la monographie du produit était à l'avenant. Le tribunal a aussi fait remarquer que la compagnie avait allégué des dommages concurrentiels sans en fournir de preuves. Cet article a aussi été interprété par la Division d'appel de la Cour fédérale dans une décision du regretté juge en chef adjoint dans l'affaire *Cyanamid Canada Inc. contre Canada (Ministre de la Santé et du Bien-être social) (1992) F.C.J. n° 950 (F.C.A.)*. À l'occasion de ce procès, il a aussi été confirmé que le droit au secret et à la confidentialité se dissipe avec la diffusion publique de la monographie.

10. De ce bref examen, nous tirons les conclusions suivantes :

    - Les données qui ne sont pas scientifiques ou techniques ne sont pas protégées.
    - Les renseignements devenus publics dans d'autres pays, comme aux États-Unis, par l'entremise de leurs procédés réglementaires, ne sont pas «secrets» ni protégés.
    - Même les données scientifiques et techniques qui ont été protégées perdent leur caractère protégé s'ils sont ... des monographies de produits – les renseignements publics ne sont pas protégés par la *Loi sur l'accès à l'information*.

    La transparence pourrait être grandement améliorée en interprétant la Loi telle qu'elle doit être interprétée : avec présomption de divulgation, à moins qu'une exemption soit clairement indiquée.

11. Au besoin, la Loi peut être modifiée dans le cadre de l'initiative de renouvellement législatif actuellement en œuvre relativement à Santé Canada, afin de clarifier le fait que les réformes en matière de transparence ne sont pas incompatibles avec la Loi; ou des règlements peuvent être

«Le présent texte ne fait pas état de l'avis juridique de Santé Canada et ne reflète pas non plus son point de vue. Il n'expose que les points de vue qu'a formulés le Comité du processus d'examen des médicaments du Conseil consultatif scientifique.»

F7

adoptés afin de clarifier les limites de l'application. Beaucoup de renseignements devraient être divulgués en vertu de la Loi sur demande, mais notre objectif devrait être la création d'un système dont la transparence ne devrait pas dépendre des demandes de divulgation de renseignements s'appuyant sur la Loi.

«Le présent texte ne fait pas état de l'avis juridique de Santé Canada et ne reflète pas non plus son point de vue. Il n'expose que les points de vue qu'a formulés le Comité du processus d'examen des médicaments du Conseil consultatif scientifique.»

Annexe G

Procès-verbal d'une réunion et de la consultation avec des intervenants
Comité du processus d'examen des médicaments du Conseil consultatif scientifique
Les 3 et 4 novembre 1999 à Ottawa
Château Cartier

Le 3 novembre 1999 18 h – 21 h 30

Le dîner est suivi d'une séance d'information des participants à la réunion.

Présents : Doug Elliott (CCS, président du Comité)
Jean Jones (CCS)
Leslie Millin (CCS)
Russ Graham (CCS)
Intervenants :
Dr Linda Strand, Association canadienne de santé publique
Mme Deanne Groetzinger, Société canadienne de la sclérose en plaques
M. William Leslie, Société canadienne des pharmaciens d'hôpitaux
Mme Carole Rykczinski, Association des pharmaciens du Canada
M. Jim Blackburn, Comité consultatif sur la gestion, PPT
Mme Janet Conners, Comité canadien aviseur sur l'accès aux traitements
M. Jim Hems, Association canadienne des fabricants de produits pharmaceutiques
Mme Lori Potovsky-Beachell, Association des consommateurs du Canada
Secretariat CCS :
Mmes Hélène Quesnel et Mandy Lall, H. T. Murphy (Secrétaire de séance)

En guise d'introduction, Doug Elliott décrit les objectifs de la séance : recueillir, aux fins du rapport du Comité, les observations des principaux intéressés, soit les intervenants actifs qui s'intéressent à l'étude du processus d'examen des médicaments qu'a entrepris le Comité. Il décrit le CCS, le Comité et sa relation sans liens de dépendance avec le ministre. Il fait un survol des travaux du Comité jusqu'à maintenant. Il souligne que la réunion se veut une séance d'information et de rétroaction sans obligation au secret, et il incite les participants à en parler à leurs collègues. Il fait aussi remarquer que le Comité n'a pas repris la démarche du PPT et se veut plutôt un complément à celui-ci, destiné à un public différent. Il se dit confiant que ce rapport saura retenir l'attention du ministre et que celui-ci en suivra les recommandations, comme il l'a toujours fait des recommandations du CCS jusqu'à présent.

Doug Elliott dresse la liste des sujets qui seront traités le lendemain : rapidité, transparence, efficience et efficacité; et aussi les questions de portée générale que sont les frais d'utilisation (recouvrement des coûts), la surveillance après-vente, les médicaments orphelins et l'harmonisation internationale.

Le Comité doit terminer son rapport en vue de la réunion du Conseil d'administration, les 23 et 24 novembre, et D. Elliott se chargera d'envoyer aux participants les recommandations du Comité au Conseil d'administration, et les recommandations qui en découleront, une fois que ce dernier les aura finalisées.

Aux questions qui sont posées, D. Elliott répond que le président du Conseil doit rencontrer le ministre, ou du moins lui parler des recommandations, et les membres du Conseil doivent discuter avec ses collaborateurs. Le ministre prend ensuite les décisions qu'il juge pertinentes. Toutes les recommandations seront présentées, quel qu'en soit le coût. Le ministre est au courant de cela et également de la démarche du PPT.

Le 4 novembre 1999 8 h – 16 h

Participants qui se joignent à la séance :
M^me^ Gina Charos, Association canadienne des soins de santé
M. Robert White, Association canadienne de l'industrie des médicaments en vente libre

Doug Elliott récapitule l'ordre du jour de la réunion, le but visé, la transparence, les objectifs, les résultats proposés. Les membres du Comité font ensuite des exposés sur les problèmes cernés par le sondage auprès des intervenants : la rapidité et la transparence du processus d'examen des médicaments (Jean Jones), l'efficience et l'efficacité (Russ Graham); les questions des frais d'utilisation, de surveillance après-vente, des médicaments orphelins et de l'harmonisation internationale (Leslie Millin) seront traitées après la pause du midi. Doug Elliott dira le mot de la fin.

Transparence et rapidité

Jean Jones commence par demander aux participants d'exprimer leurs observations, leurs suggestions, leurs recommandations et leurs préoccupations à ces sujets. Les participants se disent préoccupés par le manque de transparence et d'information sur le calendrier d'activités et les dates des présentations.

Dans la discussion qui suit, les participants conviennent que la transparence du processus d'examen des médicaments est essentielle pour préserver la crédibilité du système et la confiance des consommateurs. «Transparence» signifie notamment de l'information accessible, compréhensible, exhaustive, cohérente et diffusée en temps opportun pendant toutes les étapes et à tous les niveaux de contenu, pouvant être utiles à l'ensemble des intervenants et au grand public, concernant l'examen des médicaments conformes et non conformes. (Un système transparent serait, de par sa nature, à propos.)

Questions soulevées : comment rendre l'information accessible à tous en protégeant les renseignements

exclusifs; comment en arriver à obtenir la participation du public (audiences publiques?); comment assurer la diffusion rapide et une consultation à grande échelle; quel serait le rôle, le cas échéant, d'éventuels comités consultatifs d'experts.

Il est convenu qu'il est possible de créer un système purement canadien pouvant se pencher sur ces questions et qu'il pourrait y avoir ailleurs des modèles sur lesquels se fonder.

Après une pause-santé, une discussion a lieu sur l'étiquetage, les monographies de patients, les bilans sur les médicaments; en fait, surtout des communications avec le public. Il est convenu que les bilans sont essentiels; l'étiquetage pourrait s'améliorer; les monographies des patients sont un élément important et devraient être standardisées et largement diffusées pour le bien des patients, peut-être par l'entremise d'un organisme national.

La discussion revient sur la question de la rapidité. Il est convenu que le retard accumulé jusqu'à présent constitue un obstacle de taille à la rapidité d'exécution et doit être éliminé, quelles que soient les ressources qui seront nécessaires. Il faudra absolument fixer des échéances et un mécanisme de reddition de comptes relativement à leur respect (et, s'il le faut, des pénalités si elles ne sont pas respectées). Il est convenu que les demandes devront respecter tous les critères d'achèvement pour être admissibles par le PPT.

On se demande s'il est pertinent «d'arrêter la pendule» et quand le faire relativement aux demandes, si des problèmes surviennent, et l'on convient qu'il faudra, afin de créer un modèle, se fier sur ceux d'autres pays et sur la pratique en vigueur au Canada. La sécurité des produits est primordiale, dans tous les processus d'examen des médicaments, et non pas uniquement la rapidité ou toute autre procédure.

La discussion passe ensuite sur les sujets de l'efficience et de l'efficacité (animée par R. Graham). Elle revient sur la rapidité, qui est en fait la manifestation de ces deux questions. Par exemple, combien de temps faudrait-il proposer pour l'examen des demandes; quand «démarrer» et «arrêter» la pendule; quelles pénalités faudrait-il imposer dans les cas de demandes incomplètes; quelles seraient les règles s'appliquant aux demandes complexes ou simples. Tout le monde convient que les ressources posent un obstacle, c'est-à-dire le manque de ressources suffisantes (ressources financières et personnel expert) afin d'éliminer le retard accumulé et assurer un traitement rapide des demandes. Il faut attribuer de nouvelles ressources, en quantités suffisantes, afin que le PPT puisse s'acquitter de ses obligations. Une discussion s'ensuit sur le moyen d'éliminer le retard.

Vient ensuite la question des frais d'utilisation et du recouvrement des coûts. L'industrie veut bien payer des frais d'utilisation si elle obtient un bon service en retour, mais les droits prélevés ne suffisent pas à garantir les ressources nécessaires à l'élimination du retard et à la rapidité d'exécution. Une discussion à

bâtons rompus s'ensuit sur l'examen parallèle et séquentiel (pas un problème); l'Annexe F («débarassez-vous de ça»); l'examen prioritaire ne pose pas de problème dans un système transparent, rapide et doté de ressources suffisantes, mais il doit avoir suffisamment de flexibilité pour réagir aux nouvelles menaces et opportunités; l'utilité des modèles d'autres pays (il faut extraire les meilleurs éléments de chacun); l'impartition (conflits d'intérêts possibles, personnel permanent essentiel); organisme spécial comparativement au PPT (peut être flexible dans la structure actuelle du gouvernement).

L'on passe ensuite aux questions de communication, c'est-à-dire la participation du public au processus d'examen, à la DGPS et au PPT. La question de savoir comment faire participer le consommateur est jugée primordiale et complexe. L'on parle du modèle américain de la FDA ainsi que de l'absence de représentants officiels des consommateurs dans le processus existant au Canada. L'on discute du projet OCAPI que propose la DGPS, ainsi que de la possibilité qu'il présente d'informer et de former les consommateurs ainsi que de constituer une source d'information. Un engagement ferme envers la transparence serait automatiquement garant de communications proactives. L'on fait une mise en garde que si le gouvernement assurait la formation des représentants des consommateurs, cela pourrait être perçu comme de la cooptation; l'on discute du meilleur moyen d'obtenir la participation des consommateurs et des patients, mais aucune solution n'est trouvée. Il est convenu que les groupes de consommateurs se manifestaient d'eux-même au gouvernement, et qu'ils sont d'ores et déjà des représentants très sensibles et très articulés vis-à-vis la situation, mais que les particuliers n'ont pas accès à l'information. OCAPI et les représentants des consommateurs et des patients pourraient fournir cet accès, mais il faut pour cela, aux deux organisations, des ressources adéquates afin de s'acquitter avec succès de telles fonctions.

Après la pause du midi, Doug Elliott remercie encore une fois les participants (certains doivent partir prématurément) et les invite à lui communiquer leurs préoccupations et leurs observations relativement à la réunion.

Il est maintenant question de frais d'utilisation, de surveillance après-vente, de médicaments orphelins et d'harmonisation internationale (discussion animée par L. Millin). L'on passe en revue les situations connues au Canada, aux États-Unis, au Royaume Uni et au sein de l'Union européenne. L'on fait remarquer que, bien qu'un montant phénoménal de frais d'utilisation soit recueilli chaque année, le gouvernement n'offre pas des services auxquels on pourrait s'attendre en consultant le montant total de ces frais, qui ne sont pas affectés à l'examen des médicaments. (Aux fins de la discussion, le «recouvrement des coûts» et les «frais d'utilisation» signifient la même chose.) Il est convenu que la perception de frais d'utilisation est source de mécontentement et de confusion car ils n'ajoutent aucune valeur au système et, jusqu'à ce qu'ils le fassent, ils seront mal accueillis. De plus, ces frais sont perçus par les consommateurs comme une source possible de conflit entre leurs intérêts, qu'ils espèrent bien représentés par le gouvernement et l'industrie. Il faut stimuler la confiance dans le processus. Encore

une fois, l'attribution de ressources suffisantes par le gouvernement pour l'examen des médicaments contribuerait à rétablir la confiance dans le processus. Les frais seraient versés dans le processus, lequel devrait être rapide et transparent et englober l'obligation de rendre compte.

L'on discute de la proportion pertinente entre les frais et le financement, des frais en tant que partie intégrante d'un mécanisme de reddition de comptes (non résolu), de la mesure du rendement et des récompenses. L'on demande que le CCS, par l'entremise du Comité du processus d'examen des médicaments du CCS demande au ministre de se pencher sur la question du recouvrement des coûts avec le Conseil du Trésor, en tenant compte des observations formulées dans le cadre de la présente réunion.

À propos de la surveillance après-vente, les participants font remarquer que le sujet avait été «traité à fond», que les recommandations ont déjà été formulées et qu'il est grand temps d'agir en conséquence. Bien que l'on reconnaisse qu'aucun mécanisme n'effectue une surveillance satisfaisante des produits après leur mise en marché, le Canada pourrait adopter un rôle de chef de file : «Allons de l'avant». Il est question de ce que représentent, pour la population, les effets indésirables des médicaments (EIM) (on a besoin de nouvelles définitions); comment s'assurer de bien saisir les EIM, les surveiller et en rendre compte; il faudrait donc établir un mécanisme de communication et de déclaration; l'on suggère que le PPT coordonne, intègre et mette en commun l'information sur les EIM avec tous les intervenants, médecins, infirmiers et infirmières, pharmaciens et pharmaciennes, l'industrie de fabrication des médicaments, les provinces, les groupes de consommateurs, etc. de manière à constituer un mécanisme modèle de surveillance après-vente.

Encore une fois, l'on fait remarquer qu'il est essentiel d'avoir plus de ressources et qu'elles soient plus pertinentes afin que le processus de surveillance après-vente puisse être efficace. L'on signale que le projet de loi C-6 pourrait être source de préoccupation, relativement à la circulation libre de telles informations. Doug Elliott déclare que le Comité l'a signalé au ministre, aux fins de discussion avec le ministre qui présente le projet de loi, M. Manley.

Il est ensuite question des médicaments orphelins. Doug Elliott a examiné comment se font les choses dans divers autres pays, en ce qui concerne les médicaments orphelins, et il déclare que si les gouvernements devaient participer à un tel programme, ils le pourraient en changeant les lois, mais qu'il faudrait prendre garde d'éviter les conflits d'intérêts. Certains participants suggèrent de tirer partie de l'expertise d'autres pays et de créer un créneau d'expertise au Canada. Doug Elliott ajoute que, peut-être, la supervision pourrait être assurée par Santé Canada, mais la gestion, disons, par le Conseil de recherches médicales. Les participants ne font aucune recommandations sur la nécessité d'avoir un programme de médicaments orphelins au Canada.

L'on parle ensuite d'harmonisation internationale. Leslie Millin brosse un tableau de la participation du Canada aux démarches d'harmonisation internationale et de la position des États-Unis et de l'Union européenne à cet égard. Il déclare qu'il a été suggéré que si trois ou quatre pays comparables au Canada acceptaient un produit, le Canada pourrait faire de même sans autres démarches. Quoi qu'il en soit, le Canada étant un petit intervenant et un pays qui n'est pas très riche, ne pourrait absolument pas examiner les milliers de produits mis sur le marché chaque année.

Doug Elliott suggère qu'il serait peut-être possible de réduire le retard accumulé si les demandes visant des médicaments qui ont été avalisés par d'autres pays dont les normes sont jugées comparables les ont acceptés. Certains participants se disent d'accord avec cette proposition, et l'on fait remarquer que, bien qu'il faille poursuivre les démarches d'harmonisation internationale, il faut aussi le faire de l'harmonisation interne, et l'on recommande que le mécanisme d'harmonisation interne (c.-à-dire entre les gouvernements fédéral et provinciaux) fasse en sorte que les consommateurs puissent se procurer les produits le plus rapidement possible. Il est brièvement question de prix des médicaments, mais aucune recommandation n'est faite.

Doug Elliott termine en remerciant tous les participants et il invite à nouveau ceux-ci à parler de la réunion à leurs collègues; il les assure que le Comité leur communiquera son rapport et ses recommandations dès que possible. Il termine en exprimant son optimisme, qu'il y aura un changement positif dans le processus d'examen des médicaments grâce à leur collaboration.

SOMMAIRE

Les ressources : L'on a signalé qu'il manque de ressources suffisantes pour que puisse être faite une évaluation pertinente des médicaments au Canada, et ce fait a été déplore tout au long de la réunion. Tous les problèmes faisant l'objet de l'ordre du jour, d'une façon ou d'une autre, seraient réglés si suffisamment de ressources – ressources financières et personnel expert – y étaient appliquées.

La transparence : Il a été convenu que le manque de transparence du processus a miné la confiance qu'il suscitait et qu'il est nécessaire de faire tout en notre pouvoir afin de créer un processus qui soit transparent aux yeux de tous les participants et les intervenants, y compris le grand public. D'excellentes communications sont un élément essentiel de ce processus transparent.

La rapidité dépend de ressources suffisantes.

L'efficience et l'efficacité font partie intégrante du problème de rapidité, lequel dépend des ressources suffisantes.

Les frais d'utilisation et le recouvrement des coûts ne sont pas jugés comme un obstacle, sauf dans la mesure où ils ont contribué à l'érosion de la confiance dans le processus, en raison de la perception de collusion ou de conflit d'intérêts; les frais d'utilisation doivent être perçus comme ajoutant de la valeur au processus, ce qui ne semble pas être le cas. Ils ne peuvent pas non plus remplacer l'octroi, par le gouvernement, de ressources suffisantes.

Les communications, c'est-à-dire s'assurer de la participation et de l'engagement du public dans le processus et un flux bilatéral constant et cohérent de l'information entre tous les intervenants et les chargés du processus d'examen des médicaments, sont absolument essentielles à la crédibilité du processus.

La surveillance après-vente a fait l'objet d'une longue discussion, et le gouvernement devrait agir maintenant afin d'appliquer les recommandations qui ont été faites et ainsi, faire en sorte que le Canada devienne un chef de file dans le domaine. Encore une fois, des ressources suffisantes sont essentielles au succès de cette démarche.

Il a été question des médicaments orphelins, et bien que l'on ait convenu que ceux-ci sont nécessaires, aucune recommandation ferme n'a été faite sur la manière d'établir un programme au Canada; peut-être le Canada pourrait-il copier les initiatives américaines et créer un «créneau» pour de tels produits, lequel pourrait être supervisé par Santé Canada, mais géré par un organisme externe, comme le CRM.

De même, l'harmonisation internationale est jugée importante, mais aucune recommandations ferme n'a été faite; il faudrait néanmoins continuer en ce sens et, également important, il a été recommandé d'entreprendre une démarche d'harmonisation interne.

Annexe H

CONSEIL DE
L'UNION EUROPEENNE

Bruxelles, le 27 septembre 1999
(OR. en)

9616/1/99
REV 1

Dossier interinstitutionnel :
98/0240 (COD)

LIMITE

ECO 241
SAN 98
CODEC 380

POSITION COMMUNE (CE) N° /1999

ARRETEE PAR LE CONSEIL LE 27 SEPTEMBRE 1999

EN VUE DE L'ADOPTION

DU REGLEMENT (CE) N° /1999 DU PARLEMENT EUROPEEN ET DU CONSEIL

CONCERNANT LES MEDICAMENTS ORPHELINS

6. Pour la formulation de cet avis, le comité s'efforce de parvenir à un consensus. Si un consensus ne peut être obtenu, l'avis est adopté à la majorité des deux-tiers des membres du comité. L'avis peut être rendu au moyen d'une procédure écrite.

7. S'il ressort de l'avis du comité que la demande ne satisfait pas aux critères définis à l'article 3, paragraphe 1, l'agence en informe immédiatement le promoteur. Dans les 90 jours suivant la réception de l'avis, le promoteur peut présenter une argumentation détaillée, susceptible de fonder un recours , que l'agence transmet au comité. Le comité statue sur la nécessité de réviser son avis lors de la réunion suivante.

8. L'agence transmet immédiatement l'avis définitif du comité à la Commission qui arrête une décision dans les 30 jours suivant réception de cet avis. Lorsque, dans des cas exceptionnels, le projet de décision n'est pas conforme à l'avis du comité, la décision est arrêtée conformément à la procédure prévue à l'article 73 du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil. La décision est notifiée au promoteur et est communiquée à l'agence et aux autorités compétentes des Etats membres.

9. Le médicament désigné est inscrit au registre communautaire des médicaments orphelins.

10. Le promoteur soumet chaque année à l'agence un rapport sur l'état de développement du médicament ayant fait l'objet d'une désignation.

11. En vue d'obtenir le transfert à un autre promoteur de la désignation d'un médicament comme médicament orphelin, le titulaire de cette désignation adresse à l'agence une demande spécifique. La Commission établit, en concertation avec les Etats membres, l'agence et les milieux intéressés, des lignes directrices détaillées concernant la forme sous laquelle les demandes de transfert doivent être présentées, ainsi que le contenu de ces demandes et toutes les informations concernant le nouveau promoteur.

12. Un médicament désigné comme médicament orphelin est rayé du registre communautaire des médicaments orphelins

a) à la demande du promoteur,

b) lorsqu'il est établi, préalablement à l'octroi de l'autorisation de mise sur le marché, que les critères énoncés à l'article 3 ne sont plus remplis en ce qui concerne ce médicament,

c) à la fin de la période d'exclusivité commerciale visée à l'article 8.

Article 6

Assistance à l'élaboration de protocoles

1. Le promoteur d'un médicament orphelin peut, préalablement à l'introduction d'une demande d'autorisation de mise sur le marché, demander l'avis de l'agence sur les divers tests et essais à réaliser pour démontrer la qualité, la sécurité et l'efficacité du médicament, conformément à l'article 51, point j), du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil.

2. L'agence établit une procédure relative au développement des médicaments orphelins, prévoyant une assistance d'ordre réglementaire pour la définition du contenu de la demande d'autorisation au sens de l'article 6 du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil.

Article 7

Autorisation communautaire de mise sur le marché

1. La personne responsable de la mise sur le marché d'un médicament orphelin peut demander que l'autorisation de mise sur le marché soit délivrée par la Communauté, en application des dispositions du règlement (CEE) n° 2309/93, sans avoir à prouver que le médicament relève de la partie B de l'annexe dudit règlement.

2. La Communauté accorde chaque année à l'agence une contribution spéciale, distincte de celle prévue à l'article 57 du règlement (CEE) n° 2309/93, contribution que l'agence utilise exclusivement pour compenser le non-recouvrement, total ou partiel de toutes les redevances dues en application des règles communautaires adoptées conformément audit règlement. Le directeur exécutif de l'agence présente, à la fin de chaque année, un rapport détaillé concernant l'utilisation de cette contribution spéciale. Tout excédent dégagé au cours d'une année fait l'objet d'un report à nouveau et est déduit du montant de la contribution spéciale de l'année suivante.

3. L'autorisation de mise sur le marché délivrée pour un médicament orphelin n'est valable que pour les indications thérapeutiques répondant aux critères énoncés à l'article 3. Cette disposition n'exclut pas la possibilité d'introduire une demande d'autorisation de mise sur le marché distincte, pour d'autres indications n'entrant pas dans le champ d'application du présent règlement.

Article 8

Exclusivité commerciale

1. Lorsqu'une autorisation de mise sur le marché est accordée pour un médicament orphelin en application du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil ou lorsque tous les Etats membres ont accordé une autorisation de mise sur le marché pour ce médicament, conformément aux procédures de reconnaissance mutuelle prévues aux articles 7 et 7bis de la directive 65/65/CEE ou à l'article 9, paragraphe 4, de la directive 75/319/CEE du Conseil du 20 mai 1975 concernant le rapprochement des

dispositions législatives, réglementaires et administratives relatives aux médicaments [1], et sans préjudice des dispositions du droit de la propriété intellectuelle ou de toute autre disposition de droit communautaire, la Communauté et les Etats membres s'abstiennent, pendant dix ans, eu égard à la même indication thérapeutique, d'accepter une autre demande d'autorisation de mise sur le marché, d'accorder une autorisation de mise sur le marché ou de faire droit à une demande d'extension d'une autorisation de mise sur le marché existante pour un médicament similaire.

2. Cette période peut toutefois être ramenée à six ans s'il est établi, à la fin de la cinquième année, que pour le médicament concerné, les critères énoncés à l'article 3 ne sont plus remplis, et, entre autres, s'il est démontré, en se fondant sur les données disponibles, que la rentabilité est suffisante pour ne plus justifier le maintien de l'exclusivité commerciale. A cet effet, un Etat membre informe l'agence que le critère sur la base duquel l'exclusivité commerciale a été octroyée pourrait ne plus être rempli, en suite de quoi l'agence engage la procédure prévue à l'article 5. Le promoteur fournit à l'agence les informations nécessaires à cette fin.

3. Par dérogation au paragraphe 1 et sans préjudice des dispositions du droit de la propriété intellectuelle ou de toute autre disposition de droit communautaire, un médicament similaire peut se voir accorder une autorisation de mise sur le marché, pour la même indication thérapeutique, dans l'un des cas suivants :

a) le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché du médicament orphelin initial a donné son consentement au second demandeur, ou

b) le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché du médicament orphelin initial n'est pas en mesure de fournir ce médicament en quantité suffisante, ou

---

[1] JO L 147 du 9.6.1975, p. 13. Directive modifiée en dernier lieu par la directive 93/39/CEE du Conseil (JO L 214 du 24.8.1993, p. 22).

c) le second demandeur peut établir, dans sa demande, que le second médicament, quoique similaire au médicament orphelin déjà autorisé, est plus sûr, plus efficace ou cliniquement supérieur sous d'autres aspects.

3. La Commission adopte les définitions des expressions "médicament similaire" et "supériorité clinique" sous forme d'un règlement d'application arrêté conformément à la procédure prévue à l'article 72 du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil.

4. La Commission adopte, en concertation avec les Etats membres, l'agence et les parties concernées, des lignes directrices détaillées concernant l'application du présent article.

Article 9

Autres mesures d'incitation

1. Les médicaments désignés comme médicaments orphelins en application des dispositions du présent règlement peuvent bénéficier des mesures d'incitation prises par la Communauté et les Etats membres afin de promouvoir la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins et, en particulier, des mesures d'aide à la recherche en faveur des petites et moyennes entreprises telles que prévues par les programmes-cadres de recherche et développement technologique.

2. Avant le ..... (*), les Etats membres communiquent à la Commission des informations précises sur toute mesure qu'ils ont arrêtée pour favoriser la recherche, le développement et la mise sur le marché des médicaments orphelins ou des médicaments pouvant être désignés comme tels. Ces informations sont mises à jour régulièrement.

(*) Six mois à compter de l'entrée en vigueur du présent règlement.

3. Avant le ..... (**), la Commission publie un inventaire détaillé de toutes les mesures d'incitation arrêtées par la Communauté et par les Etats membres pour favoriser la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins. Cet inventaire est mis à jour régulièrement.

Article 10

Rapport général

Avant le ..... (***), la Commission publie un rapport général sur l'expérience acquise dans l'application du présent règlement, exposant aussi les avantages obtenus sur le plan de la santé publique.

Article 11

Entrée en vigueur

Le présent règlement entre en vigueur le jour de sa publication au Journal officiel des Communautés européennes.

Il est applicable à compter de l'adoption des règlements d'application prévus à l'article 3, paragraphe 2, et à l'article 8, paragraphe 4.

Le présent règlement est obligatoire dans tous ses éléments et directement applicable dans tous les Etats membres.

Fait à Bruxelles , le

(**) Douze mois à compter de l'entrée en vigueur du présent règlement.
(***) Six ans après l'entrée en vigueur du présent règlement.

Par le Parlement européen

Le président

Par le Conseil

Le président

Annexe I

Atelier consultatif - examen des médicaments au Canada
Recommandations sur le processus d'examen des médicaments du Programme des produits thérapeutiques
Du 30 septembre 1999 au 1er octobre 1999

Objet :

Fournir aux intervenants des observations et des recommandations sur le processus d'examen des médicaments au Canada.

Contexte :

Divers groupes d'intervenants dans le domaine du VIH/sida ont relevé des lacunes dans le processus d'examen des médicaments au Canada, en particulier sur le plan de la rapidité, de la transparence et du système de surveillance après la mise en marché. En raison de l'approbation pré-commercialisation d'une présentation de drogue, le processus d'examen adéquat devient un continuum nécessitant la surveillance après l'homologation pour assurer l'innocuité et l'efficacité des médicaments.

Santé Canada a donc organisé, le 12 août 1998, un atelier consultatif où il a invité un grand nombre de groupes d'intervenants spécialisés en matière de VIH/sida pour discuter du processus d'examen des médicaments. À la suite de cet atelier, le Ministère a créé un groupe de travail qu'il a chargé d'analyser les problèmes et de formuler des recommandations. Le groupe de travail s'est réuni le 30 septembre 1998. À cette réunion, il a demandé qu'on lui fournisse des renseignements détaillés sur l'évaluation pré-commercialisation et la surveillance après l'homologation. Il a confié à un sous-groupe le dossier relatif à la surveillance après la mise en marché.

Les services de PricewaterhouseCoopers ont été retenus pour entreprendre un examen détaillé du processus pré-commercialisation qui comprenait l'évaluation de 14 examens de médicaments, un questionnaire destiné aux compagnies associées à ces médicaments et des entrevues avec le personnel. Xerox Canada a facilité la préparation d'un processus visant à décrire de façon précise les étapes du processus d'évaluation pré-commercialisation. Ces descriptions sont maintenant affichées sur le site Web du Programme des produits thérapeutiques (www.hc-sc.gc.ca/hpb-dgps/therapeut/htmlfrn/quality.html). Les services du Groupe HDP avaient été auparavant retenus pour effectuer un examen fonctionnel de la surveillance après l'homologation et son rapport a également été fourni au Groupe de travail.

Le Groupe de travail s'est par la suite réuni le 21 janvier 1999, les 19 et 20 mai 1999 et le 12 juillet 1999 pour passer en revue ces documents. Au cours des réunions de mai et de juillet, le Groupe de travail a préparé une série de recommandations qui a par la suite été examinée et ratifiée au cours d'un Atelier consultatif sur l'examen des médicaments au Canada tenu le 12 août 1999 avec les participants de 1998. Enfin, les recommandations de cette dernière réunion ont été présentées par les membres du Groupe de travail sur le VIH-sida à un Atelier consultatif tenu du 30 septembre et du 1er octobre 1999 avec une tranche plus représentative des groupes d'intervenants. Aux deux ateliers consultatifs, le message fondamental se dégageant chez les participants était l'urgence de la situation et le fait que ce sont les Canadiens qui sont les consommateurs du processus d'examen des médicaments, un processus dont il faut rendre compte au public.

Les recommandations découlant de cette réunion ont été rangées dans quatre catégories : les recommandations déterminantes, les recommandations sur la rapidité, les recommandations sur la transparence, les recommandations sur les meilleures pratiques et, enfin, les recommandations sur la surveillance après l'homologation. Les principales recommandations déterminantes reposent sur la conclusion du rapport de PricewaterhouseCoopers selon laquelle le Programme des produits thérapeutiques a apporté toutes les améliorations qu'il pouvait sur le plan de l'efficience avec les ressources dont il disposait et qu'il reste maintenant très peu de modifications qui peuvent être apportées sans prévoir de ressources humaines et financières additionnelles. Pour mettre en oeuvre ces recommandations, il faudra obtenir des ressources additionnelles stables.

Voici donc les recommandations :

Recommandations déterminantes

1. Le gouvernement du Canada doit sans tarder consentir les ressources nécessaires à la mise à exécution et au maintien des recommandations du Groupe de travail sur le VIH/sida.

2. Un Groupe de travail, y compris des représentants du Groupe de travail sur le VIH/sida, restera chargé de la surveillance de l'application des recommandations.

3. Modifier les lignes directrices du Conseil du Trésor et les pratiques de Santé Canada de manière à faciliter le transfert des droits au-delà des frontières financières.

4. S'assurer que les droits perçus pour les présentations de drogues sont utilisés uniquement pour

les examens.

Recommandations sur la rapidité

5. Préciser les critères du Programme des produits thérapeutiques pour la désignation des examens prioritaires afin de veiller à ce qu'on accorde la priorité d'examen aux médicaments servant au traitement des maladies potentiellement mortelles ou aux médicaments pouvant répondre à d'importants besoins médicaux encore non satisfaits. Ces critères pourraient également permettre au Programme des produits thérapeutiques d'approuver les demandes d'examen accéléré si le produit influence un événement-cible de nature clinique ou auxiliaire de manière qui permet de prédire, dans la mesure du raisonnable, les avantages cliniques du produit.

6. L'affectation de ressources suffisantes aux divisions d'examen, c'est-à-dire des personnes qui possèdent les qualifications et l'expertise nécessaires.

7. Il ne faut pas grever les ressources d'une division pour augmenter celles des autres divisions d'examen.

8. Établir des échéanciers obligatoires pour le rendement des examens de la qualité et les assortir de mécanismes de rapport efficaces. En guise de reconnaissance de la complexité variée des présentations de drogues, il faut prévoir différents échéanciers en fonction de la catégorie du médicament visé. Raccourcir les délais dans la mesure du possible sans compromettre la qualité des examens.

9. Modifier les politiques et les structures du Programme des produits thérapeutiques de manière à permettre le report des présentations et des examens.

10. Mener des examens conjoints avec d'autres secteurs de compétence.

Recommandations sur la transparence

11. Améliorer la transparence du processus d'examen de manière à inclure l'accès aux renseignements non protégés sur l'état de l'examen et les raisons de toute décision définitive du Programme des produits thérapeutiques, y compris l'avis de non-conformité, l'avis de conformité, l'avis de conformité conditionnel et l'avis d'insuffisance. Élaborer un système de communication externe avec tous les intervenants en vue d'accroître la transparence du processus.

12. Explorer la possibilité de faire appel à d'autres intervenants externes pour évaluer le mérite des

demandes et déterminer si cette option est judicieuse et faisable.

13. Remettre en question tous les aspects du mandat des Comités consultatifs d'experts et, au besoin, le modifier pour en garantir l'efficacité, l'efficience, la transparence et la reddition de comptes.

Recommandations sur les meilleures pratiques

14. Cerner et adopter les meilleures pratiques existantes et les mettre en application à l'échelle de l'organisation. Voici quelques exemples : établir des échéances claires pour la tenue des examens; faire en sorte que les gestionnaires ou les groupes d'experts soient disponibles en temps opportun pour effectuer les examens; veiller à l'utilisation uniforme de demandes de clarification par télécopieur, travailler en équipes et résoudre rapidement les questions relatives à la monographie des produits.

15. Veiller à doter le Programme des produits thérapeutiques de procédures susceptibles de faciliter l'accès des promoteurs pendant tout le processus d'examen.

16. Encourager et intensifier, s'il y a lieu, l'application de la politique de sous-traitance du Programme des produits thérapeutiques à la lumière des lignes directrices du gouvernement du Canada sur les conflits d'intérêts.

17. Appliquer les lignes directrices actuelles pour faire en sorte que les examens concernant la chimie et la fabrication soient menés en même temps que les examens concernant l'innocuité et l'efficacité, de manière à améliorer l'ensemble des délais d'examen.

Recommandations sur la surveillance après l'homologation

18. Élaborer un système de surveillance après l'homologation axé sur le consommateur, incluant des mécanismes efficaces de rétroaction pour les consommateurs et les professionnels de la santé.

19. À titre de première étape critique de la mise en place d'un système de surveillance après l'homologation, veiller à ce que le système adapté de gestion des données soit assez puissant pour satisfaire les besoins croissants de rapidité et de quantité de la fonction d'établissement de rapports.

20. Élaborer un système de surveillance après l'homologation qui répondra aux besoins des Canadiens (p. ex. bases de données canadiennes, élaboration de stratégies canadiennes pour la collecte des données).

21. Adopter et mettre en oeuvre la stratégie et le plan d'activités du Programme des produits thérapeutiques prévus pour les activités d'évaluation après l'homologation d'ici 2003.

22. Faire en sorte que les Comité FPT des questions pharmaceutiques soit tenu au courant des activités de surveillance après l'homologation et favoriser, le cas échéant, les activités conjointes.

23. Mettre en place un système ouvert et transparent incluant un organe consultatif composé d'une grande variété d'intervenants, y compris des représentants des consommateurs. L'organe consultatif donne des conseils sur les activités menées dans le contexte du système de surveillance après l'homologation du Programme des produits thérapeutiques. Le processus de surveillance après l'homologation doit respecter la confidentialité des renseignements personnels.

24. Faire état des droits annuels de renouvellement de l'Identification numérique des drogues (DIN) et veiller à ce qu'un pourcentage approprié de ces droits soit alloué aux activités de surveillance après l'homologation, conformément aux ententes originales et en cours.

25. Améliorer les activités de surveillance après l'homologation et en assurer le suivi dans les programmes d'études des écoles de médecine et des autres établissements qui forment des professionnels de la santé, ainsi que dans le cadre de la formation continue des professionnels de la santé.

26. Élaborer et mettre en oeuvre une variété de stratégies efficaces de sollicitation des consommateurs (à l'échelle locale, régionale et nationale) en vue d'obtenir des renseignements sur les réactions indésirables aux médicaments ou sur les autres types de réactions aux médicaments.

27. Élaborer et mettre en oeuvre une variété de stratégies efficaces de sollicitation des professionnels de la santé (à l'échelle locale, régionale et nationale) en vue d'obtenir des renseignements sur les réactions indésirables aux médicaments ou sur les autres types de réactions aux médicaments.

28. Mettre en place un mécanisme efficace en vue de diffuser largement les renseignements sur les réactions indésirables aux médicaments (RIM) à tous les intervenants.

29. Encourager les échanges internationaux d'information sur les questions d'innocuité des

médicaments.

26 octobre 1999

GLOSSAIRE

AC - avis de conformité – effectivement, document certifiant l'approbation d'une PDN.

BPCPP - Bureau de la protection du consommateur et de la participation du public.

CCS - Conseil consultatif des sciences de Santé Canada.

Délai d'attente - expression utilisée par le PPT pour désigner l'intervalle de temps entre la réception d'une demande de drogue nouvelle et le moment où débute l'examen de cette demande.

DGPS - Direction générale de la protection de la santé de Santé Canada.

AEEM - acronyme normalisé pour l'*Agence européenne pour l'évaluation des médicaments*, de l'Union européenne.

FDA - *Food and Drug Administration* des États-Unis d'Amérique.

Harmonisation - recherche et application de mesures ou de normes communes d'un pays à un autre.

ICH - *International Committee on Harmonization*, organisme multilatéral travaillant à l'établissement de mesures et de normes communes.

MCA - *Medicines Control Agency* du Royaume-Uni.

OPP - Programme des produits orphelins de la FDA qui prévoit un ensemble d'incitatifs pour la mise au point et la commercialisation de produits orphelins. A servi de prototype pour un programme semblable au Japon et le programme prévu de l'Union européenne.

PDN - présentation de drogue nouvelle.

PEM - Processus d'examen des médicaments.

PPT - Programme des produits thérapeutiques, unité administrative de la DGPS qui supervise le Programme d'examen des médicaments.

Produits orphelins - appellation générique des produits thérapeutiques qui ont peu de chances d'être mis sur le marché par des moyens commerciaux ordinaires, soit parce que les ventes potentielles sont jugées trop peu importantes, soit parce que les coûts que suppose leur développement sont exceptionnellement élevés. Le programme des médicaments orphelins de la

FDA fixe le seuil à <200 000 patients aux États-Unis, bien qu'il prenne en charge *tous* produits nécessaires jugés valables qu'aucun fabricant n'est disposé à parrainer selon la formule habituelle. Un projet de loi pour l'Union européenne utilise comme définition « pas plus de 5 [patients] pour 10 000 habitants au sein de la Communauté », mais il prévoit aussi la prise en charge de tous produits utiles qui ne deviendraient pas disponibles par les voies habituelles.

Recouvrement des coûts - politique du Conseil du Trésor en vertu de laquelle les ministères et les organismes cherchent à recouvrer certains de leurs coûts lorsque leurs activités sont jugées avoir contribué dans une certaine mesure au « bien privé » par opposition au « bien public ».

Surveillance post-commercialisation (post-approbation) - contrôle de la sûreté et de l'efficacité des produits thérapeutiques après que leur utilisation a été approuvée.

Transparence - attributs d'un processus administratif qui permet à l'observateur intéressé de déterminer comment, pourquoi, quand et sur quelle base les décisions sont prises dans le cadre de ce processus.

VIH - virus de l'immunodéficience humaine, généralement considéré comme la principale cause du syndrome d'immunodéficience acquise, communément appelé sida.

REGLEMENT (CE) N° /1999 DU PARLEMENT EUROPEEN ET DU CONSEIL

du

concernant les médicaments orphelins

LE PARLEMENT EUROPEEN ET LE CONSEIL DE L'UNION EUROPEENNE,

vu le traité instituant la Communauté européenne, et notamment son article 95,

vu la proposition de la Commission [1],

vu l'avis du Comité économique et social [2],

statuant conformément à la procédure prévue à l'article 251 du traité [3],

---

1 JO C 276 du 4.9.1998, p 7 et JO C

2 JO C 101 du 12.4.1999, p 37

3 Avis du Parlement européen du 9 mars 1999 (JO C 175 du 21.6.1999, p. 61 , position commune du (non encore parue au Journal officiel) et décision du Parlement européen (non encore parue au Journal officiel).

Considérant ce qui suit :

(1) certaines affections sont si peu fréquentes que le coût du développement et de la mise sur le marché d'un médicament destiné à les diagnostiquer, les prévenir ou les traiter ne serait pas amorti par les ventes escomptées du produit ; l'industrie pharmaceutique est peu encline à développer ce médicament dans les conditions normales du marché, et ces médicaments sont appelés médicaments "orphelins" ;

(2) il importe que les patients souffrant d'affections rares puissent bénéficier de la même qualité de traitement que les autres et il est par conséquent nécessaire d'inciter l'industrie pharmaceutique à promouvoir la recherche, le développement et la commercialisation de traitements adéquats ; des régimes d'incitation au développement de médicaments orphelins existent aux Etats-Unis depuis 1983 et au Japon depuis 1993 ;

(3) au sein de l'Union européenne, très peu de mesures ont été prises au niveau national ou communautaire pour stimuler le développement des médicaments orphelins ; il est préférable d'arrêter de telles mesures au niveau de la Communauté afin de pouvoir tirer parti du marché le plus vaste possible et d'éviter la dispersion de ressources limitées ; une action menée au niveau communautaire est préférable à des mesures adoptées en ordre dispersé par les Etats membres, qui risqueraient d'entraîner des distorsions de concurrence et de créer des obstacles aux échanges intracommunautaires ;

(4) il importe que les médicaments orphelins pouvant bénéficier de mesures d'incitation puissent être aisément et clairement identifiés ; il apparaît totalement justifié d'élaborer à cette fin une procédure communautaire ouverte et transparente afin de désigner certains médicaments potentiels comme médicaments orphelins ;

(5) il convient de définir des critères objectifs de désignation des médicaments orphelins et de fonder ces critères sur la prévalence de l'affection que l'on cherche à diagnostiquer, à prévenir ou à traiter ; une prévalence ne dépassant pas cinq cas sur dix mille personnes est généralement considérée comme le seuil adéquat ; les médicaments destinés au traitement d'une affection mettant la vie en danger, très invalidante ou grave et chronique doivent bénéficier des mesures d'incitation, même si la prévalence de l'affection est supérieure à cinq sur dix mille ;

(6) il y a lieu d'instituer un comité composé d'experts nommés par les Etats membres pour examiner les demandes de désignation ; il convient en outre que ce comité comprenne trois représentants des associations de patients désignés par la Commission et trois autres personnes également nommées par la Commission sur recommandation de l' agence européenne pour l'évaluation des médicaments, ci-après dénommée "agence" ; il incombe à l'agence d'assurer une coordination adéquate entre le comité des médicaments orphelins et le comité des spécialités pharmaceutiques ;

(7) il importe que les patients souffrant de telles affections aient droit à des médicaments dont la qualité, la sécurité et l'efficacité sont équivalentes à celles des médicaments dont bénéficient les autres patients ; il y a donc lieu de soumettre les médicaments orphelins à la procédure d'évaluation habituelle ; il y a lieu que les promoteurs de médicaments orphelins aient la possibilité d'obtenir une autorisation communautaire ; afin de faciliter l'octroi ou le maintien de cette autorisation communautaire, il y a lieu d'accorder une dispense, au moins partielle, de la redevance due à l'agence et de prévoir le dédommagement de la perte de recettes qui en résulte pour cette dernière au moyen d'une contribution prélevée sur le budget communautaire ;

(8) d'après l'expérience acquise aux Etats-Unis et au Japon, la mesure d'incitation la plus efficace pour amener l'industrie pharmaceutique à investir dans le développement et la commercialisation de médicaments orphelins est la perspective d'obtenir une exclusivité commerciale pendant un certain

nombre d'années au cours desquelles une partie de l'investissement pourrait être récupérée ; de ce point de vue, les dispositions relatives à la protection des données prévues à l'article 4, paragraphe 8, point a), iii), de la directive 65/65/CEE du Conseil du 26 janvier 1965 concernant le rapprochement des dispositions législatives, réglementaires et administratives relatives aux médicaments [1] ne sont pas suffisamment incitatives ; les Etats membres agissant séparément ne peuvent arrêter cette mesure sans lui conférer une dimension communautaire, car une telle disposition serait contraire à la directive 65/65/CEE ; l'adoption de telles mesures en ordre dispersé par les Etats membres créerait des entraves au commerce intracommunautaire, lesquelles entraîneraient des distorsions de concurrence et contrecarreraient le marché unique ; il convient cependant de limiter l'exclusivité commerciale à l'indication thérapeutique pour laquelle la désignation de médicament orphelin a été obtenue, sans porter atteinte aux droits de propriété intellectuelle existants, et, dans l'intérêt des patients, il importe que l'exclusivité commerciale accordée à un médicament orphelin n'empêche pas la mise sur le marché d'un médicament similaire pouvant procurer un bénéfice notable aux personnes souffrant de telles affections ;

(9) il y a lieu que les promoteurs des médicaments orphelins désignés comme tels en application du présent règlement puissent bénéficier pleinement de toutes les mesures d'incitation accordées par la Communauté ou par les Etats membres pour promouvoir la recherche et le développement concernant les médicaments destinés au diagnostic, à la prévention ou au traitement de telles affections y compris les maladies rares ;

(10) le programme spécifique Biomed 2 du quatrième programme-cadre de recherche et développement technologique (1994-1998) a soutenu la recherche sur le traitement des maladies rares, notamment sur la mise au point de systèmes permettant un développement rapide des médicaments orphelins et l'établissement d'inventaires des médicaments orphelins disponibles en Europe ; les crédits alloués pour

[1] JO L 22 du 9.2.1965, p. 369. Directive modifiée en dernier lieu par la directive 93/39/CE du Conseil (JO L 214 du 24.8.1993, p. 22).

ces travaux étaient destinés à promouvoir une coopération transnationale afin de mener des recherches fondamentales et cliniques sur les maladies rares ; la recherche sur les maladies rares demeurera une priorité pour la Communauté, puisqu'elle est prévue dans le cinquième programme-cadre (1998-2002) de recherche et développement technologique ; le présent règlement institue un cadre juridique qui permettra la mise en œuvre rapide et efficace des résultats de cette recherche ;

(11) les maladies rares ont été recensées en tant que domaine prioritaire pour une action communautaire dans le domaine de la santé publique ; la Commission, dans sa communication concernant un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique, a décidé d'accorder la priorité aux maladies rares dans le cadre de la santé publique ; le Parlement européen et le Conseil ont arrêté la décision n° 1295/1999/CE du 29 avril 1999 portant adoption d'un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique (1999-2003) [1], comportant des actions visant à fournir des informations, à étudier les cas groupés de maladies rares au sein d'une population et à soutenir les associations de patients concernées ; le présent règlement fait droit à l'une des priorités identifiées dans ce programme d'action,

ONT ARRETE LE PRESENT REGLEMENT :

Article premier

Objet

Le présent règlement a pour objet d'établir une procédure communautaire visant à désigner certains médicaments comme médicaments orphelins et d'instaurer des mesures d'incitation destinées à favoriser la recherche, le développement et la mise sur le marché des médicaments ainsi désignés.

[1] JO L 155 du 22.6.1999, p. 1.

Article 2

Définitions

Aux fins du présent règlement, on entend par :

a) "médicament" : un médicament à usage humain tel que défini à l'article 2 de la directive 65/65/CEE ;

b) "médicament orphelin", un médicament ainsi désigné dans les conditions prévues par le présent règlement ;

c) "promoteur", toute personne physique ou morale établie dans la Communauté, qui cherche à obtenir, ou qui a obtenu, pour un médicament, la désignation de médicament orphelin ;

d) "agence", l'agence européenne pour l'évaluation des médicaments.

Article 3

Critères de désignation

1. Un médicament obtient la désignation de médicament orphelin si son promoteur peut établir :

a) qu'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur dix mille dans la Communauté, au moment où la demande est introduite, ou

b) qu'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement, dans la Communauté, d'une maladie mettant la vie en danger, d'une maladie très invalidante ou d'une affection grave et chronique, et qu'il est peu probable que, en l'absence de mesures d'incitation, la commercialisation de ce médicament dans la Communauté génère des bénéfices suffisants pour justifier l'investissement nécessaire ;

c) et qu'il n'existe pas de méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de cette affection ayant été autorisée dans la Communauté, ou, s'il en existe, que le médicament en question procurera un bénéfice notable à ceux atteints de cette affection.

4. La Commission adopte les dispositions requises pour la mise en oeuvre du présent article sous forme d'un règlement d'application conformément à la procédure prévue à l'article 72 du règlement (CEE) n° 2309/93 du Conseil [1].

Article 4

Comité des médicaments orphelins

1. Un comité des médicaments orphelins, ci-après dénommé "comité", est institué au sein de l'agence.

2. Le comité est chargé :

a) d'examiner les demandes de désignation de médicaments en tant que médicaments orphelins qui lui sont présentées en application du présent règlement ;

[1] JO L 214 du 24.8.1993, p. 1. Règlement modifié par le règlement (CE) n° 649/98 du Conseil (JO L 88 du 24.3.1998, p. 7).

b) de conseiller la Commission sur l'élaboration et la mise en place d'une politique des médicaments orphelins pour l'Union européenne ;

c) d'assister la Commission dans les discussions internationales relatives aux médicaments orphelins et dans ses contacts avec les groupes d'assistance aux patients ;

d) d'assister la Commission dans l'établissement de lignes directrices détaillées.

3. Le comité se compose d'un membre nommé par chacun des Etats membres, de trois membres nommés par la Commission en vue de représenter les associations de patients et de trois membres nommés par la Commission sur recommandation de l'agence ; les membres du comité sont nommés pour une période de trois ans, renouvelable. Ils peuvent se faire accompagner par des experts.

4. Le comité élit son président pour un mandat de trois ans, renouvelable une fois.

5. Les représentants de la Commission et le directeur exécutif de l'agence ou son représentant peuvent assister à toutes les réunions du comité.

6. L'agence assure le secrétariat du comité.

7. Les membres du comité sont tenus, même après avoir cessé leurs fonctions, de ne divulguer aucune information du type de celles qui sont couvertes par le secret professionnel.

Article 5

Procédure de désignation et de radiation du registre

1. Afin d'obtenir la désignation d'un médicament comme médicament orphelin, le promoteur soumet une demande à l'agence, à tout stade du développement du médicament avant le dépôt de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

2. La demande est accompagnée des renseignements et documents suivants :

   a) nom ou dénomination sociale et adresse permanente du promoteur ;

   b) principes actifs du médicament ;

   c) indication thérapeutique proposée ;

   d) justification que les critères figurant à l'article 3, paragraphe 1, sont remplis ainsi que description de l'état du développement, y compris les indications envisagées.

3. La Commission établit, en concertation avec les Etats membres, l'agence et les milieux intéressés, des lignes directrices détaillées concernant la forme sous laquelle les demandes de désignation doivent être présentées, ainsi que le contenu de ces demandes.

4. L'agence vérifie la validité de la demande et prépare un rapport succinct à l'intention du comité. Elle peut, si nécessaire, demander au promoteur de compléter les renseignements et les documents fournis à l'appui de la demande.

5. L'agence veille à ce que le comité émette un avis dans les 90 jours suivant la réception d'une demande valide.